



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

31 de enero de 2020
EMA/47029/2020
EMA/H/C/004324

Retirada de la solicitud de autorización de comercialización de Idhifa (enasidenib)

Celgene Europe B.V. retiró su solicitud de autorización de comercialización de Idhifa para el tratamiento de adultos con leucemia mieloide aguda (LMA), un cáncer de los glóbulos blancos.

La empresa retiró la solicitud el 6 de diciembre de 2019.

¿Qué es Idhifa y a qué uso estaba destinado?

Idhifa se desarrolló como medicamento contra el cáncer para el tratamiento de la LMA en pacientes adultos cuyas células cancerosas presentan una mutación (cambio) en el gen para una proteína denominada IDH2 y que no pueden recibir un tratamiento intensivo para el cáncer. Idhifa iba a utilizarse en pacientes cuya enfermedad no había respondido al tratamiento (refractaria) o había reaparecido (recidivante) después de tratamientos previos, como un trasplante de células madre hematopoyéticas (un trasplante de células que pueden transformarse en diferentes tipos de células sanguíneas).

Idhifa contiene el principio activo enasidenib y se iba a presentar en comprimidos.

Idhifa fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 28 de abril de 2016 para el tratamiento de la LMA. Puede encontrarse más información sobre la designación de medicamento huérfano en la página web de la Agencia:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161640.

¿Cómo actúa Idhifa?

El principio activo de Idhifa, el enasidenib, bloquea la acción de las formas mutadas de IDH2, una proteína que tiene un papel fundamental en la generación de energía para las células. La IDH2 mutada produce niveles elevados de una sustancia denominada D-2-HG, que contribuye al crecimiento de las células cancerosas. Al bloquear la acción de la IDH2 mutada, se prevé que el enasidenib reduzca la producción de D-2-HG y frene así la progresión de la enfermedad.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



¿Qué documentación presentó la empresa en apoyo de su solicitud?

Idhifa se analizó en un estudio principal en el que participaron 214 pacientes con LMA portadores de una mutación de IDH2. Idhifa no se comparó con ningún otro medicamento y el criterio principal de valoración de la eficacia fue el número de pacientes que no mostraron signos de la enfermedad después del tratamiento.

¿En qué fase se encontraba la evaluación de la solicitud cuando fue retirada?

La solicitud fue retirada después de que la Agencia Europea de Medicamentos hubiera evaluado la información facilitada por la empresa y formulado una lista de preguntas. Después de que la Agencia hubo evaluado las respuestas de la empresa a la última serie de preguntas, aún quedaban algunas cuestiones sin resolver.

¿Qué recomendaba la Agencia en ese momento?

Estudiada la documentación y las respuestas de la empresa a la lista de preguntas de la Agencia, en el momento de la retirada la Agencia tenía reservas y, provisionalmente, consideraba que Idhifa no hubiera podido aprobarse para el tratamiento de la LMA.

La Agencia consideró que los resultados del estudio no permitían concluir que Idhifa fuera suficientemente eficaz en el tratamiento de la LMA recidivante o refractaria con una mutación de IDH2.

Por consiguiente, en el momento de la retirada, la Agencia estimaba que los beneficios de Idhifa no superaban a los riesgos.

¿Cuáles fueron las razones aducidas por la empresa para retirar su solicitud?

En el [escrito](#) en el que notificaba a la Agencia la retirada de su solicitud, la empresa declaró que no podía responder plenamente a las principales reservas de la Agencia.

¿Qué consecuencias tiene esta retirada para los pacientes que participan en los ensayos clínicos o programas de uso compasivo?

La empresa informó a la Agencia de que no hay consecuencias para los pacientes que actualmente participan en ensayos clínicos o programas de uso compasivo con Idhifa.

Si participa usted en un ensayo clínico o programa de uso compasivo y precisa información adicional acerca de su tratamiento, póngase en contacto con su médico.