



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

31. jaanuar 2020
EMA/47029/2020
EMA/H/C/004324

Müügiloa taotluse tagasivõtmise teave: Idhifa (enasideniib)

Celgene Europe B.V. võttis tagasi Idhifa müügiloa taotluse. Ravim oli näidustatud ägeda müeloidleukeemia (AML) (valgevereliblede teatud vähk) raviks täiskasvanutel.

Ettevõtte võttis taotluse tagasi 6. detsembril 2019.

Mis on Idhifa ja milleks kavatseti seda kasutada?

Idhifa töötati välja vähiravimina ägeda müeloidleukeemia raviks täiskasvanud patsientidel, kelle vähirakkudel on IDH2-valgu geenimutatsioon (muutus) ja kellel ei saa kasutada intensiivset vähiravi. Idhifat kavatseti kasutada täiskasvanud patsientidel, kellel haigus oli refraktoorne (ei allunud ravile) või relapseerunud (tekkis uuesti) pärast eelnevat ravi, sealhulgas vereloome tüvirakkude (rakud, mis võivad areneda eri liiki vererakkudeks) siirdamist.

Idhifa sisaldab toimeainena enasideniibi ja seda kavatseti turustada tablettidena.

Idhifa nimetati 28. aprillil 2016 ägeda müeloidleukeemia harvikravimiks (ravim, mida kasutatakse harvaesinevate haiguste korral). Lisateave harvikravimiks nimetatud ravimi kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161640.

Kuidas Idhifa toimib?

Idhifa toimeaine enasideniibi toime väljendub IDH2 (valk, millel on oluline roll rakkudele energia tootmisel) muteerunud vormide toime blokeerimises. Muteerunud IDH2 toodab suures koguses ainet D-2-HG, mis soodustab vähirakkude arengut. Muteerunud IDH2 toime blokeerimisega vähendab enasideniib eeldatavasti D-2-HG teket ja aeglustab nõnda haiguse progresseerumist.

Mis dokumendid esitas ettevõtte oma taotluse toetuseks?

Idhifat uuriti põhiuuringus, milles osales 214 ägeda müeloidleukeemiaga patsienti, kellel esines IDH2 mutatsioon. Idhifat ei võrreldud ühegi teise ravimiga ja efektiivsuse põhinäitaja oli nende patsientide arv, kellel ei ilmnenud pärast ravi haigusnähte.

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



Mis järgus oli müügiloa taotluse hindamine, kui see tagasi võeti?

Taotlus võeti tagasi pärast seda, kui Euroopa Ravimiamet oli hinnanud ettevõtte esitatud teavet ja koostanud ettevõttele vastamiseks küsimused. Amet oli ettevõttele esitatud viimaste küsimuste vastused läbi vaadanud, kuid mõni probleem oli veel lahendamata.

Mis oli sel ajal ameti soovitus?

Tuginedes esitatud andmete analüüsile ja ettevõtte vastustele ameti esitatud küsimustele, nägi amet taotluse tagasivõtmise ajal põhjust ettevaatlikkuseks ja oli esialgsel seisukohal, et Idhifa kasutamist ägeda müeloidleukeemia raviks ei ole võimalik heaks kiita.

Amet leidis, et uuringu tulemused ei võimaldanud järeldada, et Idhifa on piisavalt efektiivne IDH2 mutatsiooniga relapseerunud või refraktoorse ägeda müeloidleukeemia ravis.

Seetõttu oli amet müügiloa taotluse tagasivõtmise ajal arvamusel, et Idhifa kasulikkus ei ole suurem kui sellega kaasnevad riskid.

Mis põhjustel võttis ettevõtte taotluse tagasi?

Ettevõtte [kirjas](#), milles ta teatab Euroopa Ravimiametile oma taotluse tagasivõtmisest, märgib ettevõtte, et tal ei olnud võimalik ameti tõstatatud olulisi vastuväiteid täielikult lahendada.

Kuidas mõjutab tagasivõtmine praegu kliinilistes uuringutes või eriloaga kasutamise programmides osalevaid patsiente?

Ettevõtte teatas ametile, et tagasivõtmine ei mõjuta Idhifa kliinilistes uuringutes või eriloaga kasutamise programmides osalevaid patsiente.

Kui osalete ravimi kliinilises uuringus või eriloaga kasutamise programmis ja vajate ravi kohta lisateavet, pöörduge oma arsti poole.