



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Idhifaa (enasidenibi) koskevan myyntilupahakemuksen peruuttaminen

Celgene Europe B.V. peruutti Idhifa-lääkevalmistetta koskevan myyntilupahakemuksensa. Idhifa oli tarkoitettu akuuttia myelooista leukemiaa (veren valkosolujen syöpää) sairastavien aikuisten hoitoon.

Yhtiö peruutti hakemuksen 6. joulukuuta 2019.

Mitä Idhifa on ja mihin sitä oli tarkoitus käyttää?

Idhifa kehitettiin syöpälääkkeeksi. Sillä oli tarkoitus hoitaa niiden aikuispotilaiden akuuttia myelooista leukemiaa, joiden syöpäsoluissa on IDH2-nimisen proteiinin geenin mutaatio (muutos) ja joille ei voida antaa intensiivistä syöpähoitoa. Idhifaa oli tarkoitus käyttää aikuispotilailla, joihin aiemmat hoidot eivät olleet tehonneet tai joiden sairaus oli uusiutunut (relapsoitunut) aiempien hoitojen, myös hematopoieettisen kantasolusiirron (sellaisten solujen siirto, jotka voivat kehittyä erityyppisiksi verisoluiksi), jälkeen.

Idhifan vaikuttava aine on enasidenibi, ja sitä oli määrä olla saatavana tabletteina.

Idhifa nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisissa sairauksissa käytettävä lääke) 28. huhtikuuta 2016 akuutin myelooisen leukemian hoitoa varten. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on viraston verkkosivuilla: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161640.

Miten Idhifa vaikuttaa?

Idhifan vaikuttava aine enasidenibi vaikuttaa estämällä IDH2-proteiinin mutaation vaikutuksesta muuttuneiden muotojen toiminnan. IDH2 on proteiini, jolla on tärkeä tehtävä solujen energian tuottamisessa. Mutaation vaikutuksesta muuttunut IDH2 tuottaa suuria määriä D-2-HG-nimistä ainetta, joka edistää syöpäsolujen kasvua. Kun enasidenibi estää mutaation vaikutuksesta muuttuneen IDH2:n toiminnan, sen oletetaan vähentävän D-2-HG:n tuotantoa ja hidastavan näin sairauden etenemistä.

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



Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Idhifaa tutkittiin päätutkimuksessa, johon osallistui 214 akuuttia myelooista leukemiaa sairastavaa potilasta. Näillä potilailla oli IDH2-mutaatio. Idhifaa ei verrattu muihin lääkkeisiin, ja tehon päämittana oli niiden potilaiden lukumäärä, joilla ei ollut merkkejä sairaudesta hoidon jälkeen.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli, kun se peruutettiin?

Hakemus peruutettiin sen jälkeen, kun lääkevalmistekomitea oli arvioinut yhtiön toimittamat tiedot ja laatinut luettelon kysymyksistä. Kun lääkevalmistekomitea oli arvioinut yhtiön viimeisiin kysymyksiin antamat vastaukset, joitakin seikkoja oli vielä selvittämättä.

Mikä oli lääkevalmistekomitean suositus tuolloin?

Lääkevalmistekomitea suhtautui saamiensa tietojen ja yhtiön kysymysluetteloon antamien vastausten tarkastelun perusteella varauksellisesti joihinkin seikkoihin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ja sen alustava kanta oli, että Idhifaa ei voitaisi hyväksyä akuutin myelooisen leukemian hoitoon.

Virasto katsoi, ettei tutkimusten tulosten perusteella voitu päätellä, että Idhifa oli riittävän tehokas uusiutuneen tai hoitoon vastaamattoman akuutin myelooisen leukemian hoidossa potilaille, joilla on IDH2-mutaatio.

Siksi virasto katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, että Idhifasta saatava hyöty ei ole sen riskejä suurempi.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

[Kirjeessään](#), jossa yhtiö ilmoittaa virastolle hakemuksen peruuttamisesta, se toteaa, että se ei pysty vastaamaan lääkevalmistekomitean keskeisiin huolenaiheisiin annetussa ajassa.

Vaikuttaako tämä hakemuksen peruuttaminen kliinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin osallistuviin potilaisiin?

Yhtiö ilmoitti virastolle, ettei päätöksellä ole mitään seurauksia Idhifan kliinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmaan osallistuville potilaille.

Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, ota yhteyttä kliinisen tutkimuksen lääkäriin.