



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

31 janvier 2020
EMA/47029/2020
EMA/H/C/004324

Retrait de la demande d'autorisation de mise sur le marché pour Idhifa (énasidenib)

Celgene Europe B.V. a retiré sa demande d'autorisation de mise sur le marché pour Idhifa pour le traitement des adultes atteints de leucémie myéloblastique aiguë (LMA), un cancer des globules blancs.

La société a retiré sa demande le 6 décembre 2019.

Qu'est-ce que Idhifa et dans quel cas devait-il être utilisé?

Idhifa a été développé comme médicament anticancéreux pour le traitement de la LMA chez les patients adultes dont les cellules cancéreuses présentent une mutation (changement) dans le gène codant pour une protéine appelée IDH2 et qui ne peuvent pas recevoir de traitement intensif du cancer. Idhifa devait être utilisé chez les patients dont la maladie ne répondait pas aux traitements (réfractaire), ou était réapparue (rechute) à la suite de traitements antérieurs, y compris une greffe de cellules souches hématopoïétiques (greffe de cellules qui peuvent se différencier en différents types de cellules sanguines).

Idihifa contient le principe actif énasidenib et devait être disponible sous forme de comprimés.

Idihifa a été désigné comme étant un «médicament orphelin» (médicament utilisé pour des maladies rares), le 28 avril 2016 pour le traitement de la LMA. Des informations complémentaires sur la désignation de médicament orphelin sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous:

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

Comment Idhifa agit-il?

Le principe actif de l'Idhifa, l'énasidenib, agit en bloquant l'action des formes mutées de l'IDH2, une protéine qui joue un rôle important dans la production d'énergie pour les cellules. L'IDH2 muté produit des niveaux élevés d'une substance appelée D-2-HG, qui contribue à la croissance des cellules cancéreuses. En bloquant l'action de l'IDH2 muté, l'énasidenib devrait réduire la production de D-2-HG et donc ralentir la progression de la maladie.

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



Quelle a été la documentation présentée par la société pour justifier sa demande?

Idhifa a été étudié dans une étude principale impliquant 214 patients atteints de LMA et porteurs d'une mutation IDH2. Idhifa n'a été comparé à aucun autre médicament et la principale mesure de l'efficacité a été le nombre de patients qui n'ont pas montré de signes de la maladie après le traitement.

À quel stade en était l'évaluation lors du retrait de la demande?

La demande a été retirée après que l'Agence européenne des médicaments eut évalué les informations de la société et préparé des questions à son intention. Après l'évaluation par l'Agence des réponses apportées par la société à la dernière série de questions, certains aspects problématiques demeuraient en suspens.

Quelle était la recommandation de l'Agence à ce stade?

Sur la base de l'examen des données et de la réponse de la société à la liste de questions de l'Agence, au moment du retrait, l'Agence avait des réserves et estimait à ce stade qu'Idhifa n'aurait pas pu être approuvé pour le traitement de la LMA.

L'Agence a estimé que les résultats de l'étude ne permettaient pas de conclure qu'Idhifa était suffisamment efficace dans le traitement de la LMA récidivante ou réfractaire avec une mutation de l'IDH2.

Par conséquent, au moment du retrait, l'avis de l'Agence était que les bénéfices d'Idhifa n'étaient pas supérieurs à ses risques.

Quels ont été les motifs invoqués par la société pour le retrait de la demande?

Dans sa [lettre](#) notifiant à l'Agence le retrait de la demande, la société a indiqué qu'elle ne pourrait pas répondre intégralement aux principales objections soulevées par l'Agence.

Quelles sont les conséquences du retrait pour les patients participant aux essais cliniques ou bénéficiant de programmes d'utilisation compassionnelle?

La société a informé l'Agence qu'il n'y a aucune conséquence pour les patients inclus dans des essais cliniques ou des programmes d'utilisation compassionnelle utilisant Idhifa.

Si vous participez à un essai clinique ou à un programme d'utilisation compassionnelle et si vous souhaitez obtenir des informations supplémentaires sur votre traitement, contactez votre médecin.