EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13 novembre 2020
EMA/577847/2020
EMEA/H/C/005056

Retrait de la demande d'autorisation de mise sur le marché pour Tibsovo (ivosidénib)

Agios Netherlands B.V. a retiré sa demande d'autorisation de mise sur le marché pour Tibsovo destiné au traitement de la leucémie myéloblastique aiguë (LMA), un cancer des globules blancs.

La société a retiré sa demande le 13 octobre 2020.

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

Tibsovo est un médicament qui a été développé pour traiter une LMA récidivante (en rechute) ou qui ne s'est pas améliorée avec un traitement antérieur (réfractaire) chez les adultes dont les cellules cancéreuses présentent une mutation (un changement) du gène d'une enzyme appelée IDH1. Il devait être utilisé chez:

- les patients qui ont reçu deux traitements antérieurs, dont au moins un traitement intensif standard avec chimiothérapie;
- les patients qui ne peuvent pas recevoir un traitement intensif standard contre le cancer et qui ont essayé au moins un traitement non intensif.

Tibsovo contient la substance active ivosidénib et devait être disponible sous forme de comprimés.

Tibsovo a été désigné comme étant un «médicament orphelin» (médicament utilisé pour des maladies rares), le 12 décembre 2016 pour 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/eu3161802.

Comment Tibsovo agit-il?

L'ivosidénib, la substance active que contient Tibsovo, agit en bloquant l'action des formes mutées de l'IDH1. L'IDH1 muté produit des niveaux élevés d'une substance appelée D-2-hydroxyglutarate (D-2-HG), qui contribue à la croissance des cellules cancéreuses. En bloquant l'action de l'IDH1 muté, l'ivosidénib devrait réduire la production de D-2-HG et donc ralentir la progression de la maladie.

© European Medicines Agency, 2020. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

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

La société a présenté les résultats d'une étude principale portant sur 179 patients atteints de LMA récidivante ou réfractaire et porteurs d'une mutation d'IDH1. L'étude a examiné les effets de différentes doses de Tibsovo. Tibsovo n'a été comparé à aucun autre médicament et le principal critère d'évaluation de l'efficacité a été le nombre de patients qui n'ont pas montré de signes de la maladie après le traitement, avec ou sans normalisation de la numération des cellules sanguines.

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 que Tibsovo n'aurait pas pu être approuvé pour le traitement de la LMA.

L'Agence a conclu que l'étude principale n'a pas fourni suffisamment de preuves attestant que le médicament est efficace dans le traitement de la LMA avec mutation de l'IDH1.

Par conséquent, au moment du retrait de la demande, l'Agence était d'avis que la société n'avait pas fourni suffisamment de données pour justifier la demande relative à Tibsovo.

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 retirerait sa demande parce que l'Agence estimait que les données disponibles n'étaient pas suffisantes pour conclure que le rapport bénéfice/risque du médicament pour l'indication proposée est favorable.

Ce retrait a-t-il des conséquences pour les patients participant à des essais cliniques?

La société a informé l'Agence qu'il n'y a aucune conséquence pour les patients actuellement inclus dans des essais cliniques utilisant Tibsovo.

Si vous participez à un essai clinique et si vous souhaitez obtenir des informations complémentaires sur votre traitement, contactez le médecin qui dirige l'essai clinique.