



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Az Idhifa-ra (enaszidenib) vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelem visszavonása

A Celgene Europe B.V. visszavonta az akut mieloid leukémia (AML; a fehérvérsejtek egyfajta daganatos betegsége) kezelésére szánt Idhifa-ra vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelmét.

A vállalat 2019. december 6-án vonta vissza a kérelmet.

Milyen típusú gyógyszer az Idhifa és milyen alkalmazásra szánták?

Az Idhifa-t daganatellenes gyógyszerként fejlesztették ki az AML kezelésére olyan felnőtt betegeknél, akiknél a daganatsejtekben kimutatható egy mutáció (változás) az IDH2 elnevezésű fehérje génjében és akik nem kaphatnak intenzív daganatellenes kezelést. Az Idhifa-t olyan betegeknél tervezték alkalmazni, akiknek a betegsége nem reagált a korábbi kezelésekre (refrakter), illetve kiújult (relabált) az olyan, korábbi kezelés után, amely magában foglalt vérképző őssejt-átültetést (olyan sejtek beültetése, amelyek különböző vérsejteké képesek átalakulni).

Az Idhifa hatóanyaga az enaszidenib és tablettá formájában kívánták forgalmazni.

Az Idhifa-t 2016. április 28-án az AML kezelése tekintetében „ritka betegség elleni gyógyszerré” minősítették. A ritka betegség elleni gyógyszerré minősítésről további információ az Ügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161640.

Hogyan fejt ki hatását az Idhifa?

Az Idhifa hatóanyaga, az enaszidenib azáltal fejt ki hatását, hogy blokkolja az IDH2 mutáns formáinak működését. Ez a fehérje fontos szerepet játszik a sejtek energiatermelésében. A mutáns IDH2 nagy mennyiségben termel egy D-2-HG nevű vegyületet, amely hozzájárul a daganatsejtek növekedéséhez. A mutáns IDH2 gátlása révén az enaszidenib várhatóan csökkenti a D-2-HG termelését, ezáltal pedig lelassítja a betegség előrehaladását.

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



Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

Az Idhifa-t egy fő vizsgálatban tanulmányozták, amelyben 214 olyan AML beteg vett részt, akiknél kimutatható volt az IDH2 mutáció. Az Idhifa-t nem hasonlították össze egyéb gyógyszerekkel, és a fő hatékonysági mutató azon betegek aránya volt, akiknél a kezelés után a betegség nem volt kimutatható.

A visszavonás előtt meddig jutott el a kérelem az elbírálási folyamatban?

A kérelmet azt követően vonták vissza, hogy az Európai Gyógyszerügynökség már értékelte a vállalat által benyújtott információt, és kidolgozott egy kérdéssort. Miután az Ügynökség értékelte a vállalatnak az utolsó kérdéssorra adott válaszait, még mindig maradt néhány megoldatlan probléma.

Mit tartalmazott az Ügynökség ajánlása az adott időpontban?

A visszavonás időpontjában az adatok és a vállalat által az Ügynökség kérdéseire adott válaszok áttekintése alapján az Ügynökség részéről néhány aggály merült fel, és az volt az ideiglenes véleménye, hogy az Idhifa alkalmazása nem engedélyezhető az AML kezelésére.

Az Ügynökség úgy vélte, hogy a vizsgálat eredményei nem teszik lehetővé, hogy következtetést lehessen levonni arra vonatkozóan, hogy az Idhifa kellően hatékony a relabált vagy refrakter AML kezelésében IDH2 mutáció jelenléte esetén.

Ezért a visszavonás időpontjában az Ügynökség meglátása szerint az Idhifa előnyei nem haladták meg a kockázatokat.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő levelében a vállalat úgy nyilatkozott, hogy nem tudott volna teljes körűen válaszolni az Ügynökség által felvetett aggályokra a megadott határidőn belül.

Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vesznek klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti kezelési programokban?

A vállalat tájékoztatta az Ügynökséget, hogy nincs következmény az Idhifa-val végzett klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti alkalmazási programban részt vevő betegekre nézve.

Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vagy engedélyezés előtti alkalmazási programban vesz részt és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával.