



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2020. november 13.
EMA/577847/2020
EMA/H/C/005056

A Tibsovo-ra (ivosidenib) vonatkozó forgalombahozatali engedély iránti kérelem visszavonása

Az Agios Netherlands B.V. visszavonta az akut mieloid leukémia (AML; a fehérvérsejtek egyfajta daganatos betegsége) kezelésére szánt Tibsovo-ra vonatkozó forgalombahozatali engedély iránti kérelmét.

A vállalat 2020. október 13-án vonta vissza a kérelmet.

Milyen típusú gyógyszer a Tibsovo és milyen alkalmazásra szánták?

A Tibsovo-t az AML kezelésére szolgáló gyógyszerként fejlesztették ki azokra az esetekre, amikor a betegség kiújult (relapszált) vagy korábbi kezeléssel nem javult a (refrakter) olyan felnőtteknél, akiknek daganatos sejtjeiben az IDH1 nevű enzim génjének mutációja (megváltozott példánya) van jelen. Az alábbi esetekben alkalmazták volna:

- olyan betegek, akik két korábbi kezelésben részesültek, beleértve legalább egy standard intenzív kemoterápiás kezelést is;
- olyan betegek, akiknél nem alkalmazható standard intenzív daganatellenes kezelés, és akik esetében kipróbáltak már legalább egyféle nem intenzív kezelést.

A Tibsovo hatóanyaga az ivosidenib és tablettá formájában kívánták forgalmazni.

A Tibsovo-t 2016. december 12-én az AML kezelésére alkalmazott, „ritka betegség elleni gyógyszerré” (orphan drug) minősítették. A ritka betegség elleni gyógyszerré minősítésről további információ az Ügynökség honlapján található:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161802.

Hogyan fejti ki hatását a Tibsovo?

A Tibsovo hatóanyaga, az ivosidenib azáltal fejti ki hatását, hogy gátolja az IDH1 mutáns formáinak működését. A mutáns IDH1 enzim nagy mennyiségben termel egy D-2-hidroxiglutarát (D-2-HG) nevű vegyületet, amely hozzájárul a daganatsejtek növekedéséhez. A mutáns IDH1 gátlása révén az ivosidenib várhatóan csökkenti a D-2-HG termelését, ezáltal pedig kontrollálja a betegséget.

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?

A vállalat egy fő vizsgálat eredményeit nyújtotta be, amelyben 179, IDH1 mutációt hordozó, kiújult vagy refrakter AML-ben szenvedő beteg vett részt. A vizsgálat a Tibsovo különböző dózisainak hatásait tanulmányozta. A Tibsovo-t nem hasonlították össze egyéb gyógyszerekkel, és a hatásosság fő mutatója azon betegek aránya volt, akiknél a kezelés után nem voltak kimutathatók a betegség jelei, a vérsejtek számának helyreállításával vagy anélkül.

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 kérdéslistát. 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 a Tibsovo alkalmazása nem engedélyezhető az AML kezelésére.

Az Ügynökség arra a következtetésre jutott, hogy a fő vizsgálat nem nyújtott elegendő bizonyítékot arra vonatkozóan, hogy a gyógyszer hatékony az IDH1 mutációval járó AML kezelésében.

Ezért a visszavonás időpontjában az Ügynökség véleménye az volt, hogy a vállalat nem közölt elegendő adatot a Tibsovo-ra vonatkozó kérelem alátámasztásához.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő [levelében](#) a vállalat úgy nyilatkozott, hogy azért döntött a kérelem visszavonása mellett, mert az Ügynökség szerint a rendelkezésre álló adatok nem elegendők ahhoz, hogy pozitív előny-kockázat viszonyt állapítsanak meg a javasolt indikáció tekintetében.

Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vesznek klinikai vizsgálatokban?

A vállalat tájékoztatta az Ügynökséget, hogy a visszavonásnak a Tibsovo-val végzett klinikai vizsgálatokban részt vevő betegekre nézve nincsenek következményei.

Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vesz részt és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot a klinikai vizsgálatban részt vevő kezelőorvosával.