



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ritiro della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Idhifa (enasidenib)

Celgene Europe B.V. ha ritirato la domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Idhifa, per il trattamento di adulti con leucemia mieloide acuta (LMA), un tumore dei globuli bianchi.

La ditta ha ritirato la domanda il 6 dicembre 2019.

Che cos'è Idhifa e per che cosa avrebbe dovuto essere usato?

Idhifa è stato sviluppato come medicinale antitumorale per il trattamento della LMA nei pazienti adulti le cui cellule tumorali presentano una mutazione (alterazione) nel gene che codifica per una proteina chiamata IDH2 e i quali non possono ricevere un trattamento antitumorale intensivo. Idhifa avrebbe dovuto essere usato nei pazienti in cui malattia non aveva risposto alle terapie (refrattaria) o si era ripresentata (recidivante) dopo trattamenti pregressi, tra cui un trapianto di cellule staminali ematopoietiche (un trapianto di cellule che possono evolvere in diversi tipi di cellule ematiche).

Idhifa contiene il principio attivo enasidenib e avrebbe dovuto essere disponibile sotto forma di compresse.

Idhifa è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 28 aprile 2016 per il trattamento della LMA. Ulteriori informazioni sulla designazione di medicinale orfano sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161640.

Come agisce Idhifa?

Il principio attivo di Idhifa, enasidenib, agisce bloccando l'azione delle forme mutate di IDH2, una proteina che svolge un ruolo importante nel generare energia per le cellule. L'IDH2 mutata produce livelli elevati di una sostanza chiamata D-2-HG, che contribuisce alla crescita delle cellule tumorali. Bloccando l'azione dell'IDH2 mutata, enasidenib dovrebbe ridurre la produzione di D-2-HG e rallentare pertanto la progressione della malattia.

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



Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

Idhifa è stato esaminato in uno studio principale su 214 pazienti con LMA portatori di una mutazione dell'IDH2. Idhifa non è stato confrontato con altri medicinali. Come principale indicatore dell'efficacia è stato considerato il numero di pazienti che non mostravano segni della malattia dopo il trattamento.

A che punto della valutazione si trovava la domanda quando è stata ritirata?

La domanda è stata ritirata dopo che l'Agenzia europea per i medicinali aveva valutato le informazioni fornite dalla ditta e preparato domande per quest'ultima. In seguito alla valutazione da parte dell'Agenzia delle risposte fornite dalla ditta all'ultima serie di domande, alcuni problemi erano rimasti irrisolti.

Qual era la raccomandazione dell'Agenzia a quel punto?

In base all'esame dei dati e della risposta fornita dalla ditta alle domande dell'Agenzia, al momento del ritiro della domanda, l'Agenzia aveva alcuni dubbi ed era provvisoriamente del parere che Idhifa non potesse essere autorizzato per il trattamento della LMA.

L'Agenzia riteneva che i risultati dello studio non consentissero di concludere che Idhifa fosse sufficientemente efficace nel trattamento della LMA recidivante o refrattaria con una mutazione di IDH2.

Pertanto, al momento del ritiro della domanda, l'Agenzia era del parere che i benefici di Idhifa non fossero superiori ai suoi rischi.

Quali sono i motivi invocati dalla ditta per il ritiro della domanda?

Nella [lettera](#) con cui notifica all'Agenzia il ritiro della domanda, la ditta ha comunicato la propria impossibilità di risolvere le principali obiezioni sollevate dall'Agenzia.

Il ritiro della domanda influisce sui pazienti inseriti in studi clinici o in programmi di uso compassionevole?

La ditta ha informato l'Agenzia che non vi sono conseguenze per i pazienti inseriti in studi clinici o in programmi di uso compassionevole con Idhifa.

Le persone inserite in uno studio clinico o in un programma di uso compassionevole che abbiano bisogno di maggiori informazioni sul proprio trattamento possono consultare il medico che le sta trattando.