



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ritiro della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Tibsovo (ivosidenib)

Agios Netherlands B.V. ha ritirato la domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Tibsovo, per il trattamento della leucemia mieloide acuta (LMA), un cancro dei globuli bianchi.

La ditta ha ritirato la domanda di autorizzazione in data 13 ottobre 2020.

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

Tibsovo è stato sviluppato come medicinale per il trattamento della LMA che si ripresenta (recidivante) o che non è regredita dopo una precedente terapia (refrattaria) negli adulti le cui cellule tumorali presentano una mutazione (variazione) nel gene per un enzima denominato IDH1. Il medicinale avrebbe dovuto essere utilizzato in:

- pazienti precedentemente sottoposti a due trattamenti, compreso almeno un trattamento intensivo standard con chemioterapia;
- pazienti che non possono essere sottoposti a una terapia antitumorale intensiva standard e hanno provato almeno un trattamento non intensivo.

Tibsovo contiene il principio attivo ivosidenib e avrebbe dovuto essere disponibile sotto forma di compresse.

Tibsovo è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) per il trattamento della LMA il 12 dicembre 2016. Ulteriori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:

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

Come agisce Tibsovo?

Il principio attivo di Tibsovo, ivosidenib, agisce bloccando l'azione di forme mutate del gene IDH1. Il gene IDH1 mutato produce livelli elevati di una sostanza denominata D-2-idrossiglutarato (D-2-HG), che contribuisce alla crescita delle cellule tumorali. Bloccando l'azione del gene IDH1 mutato,

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



ivosidenib dovrebbe ridurre la produzione di D-2-HG e controllare pertanto la progressione della malattia.

Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

La ditta ha presentato i risultati di uno studio principale su 179 pazienti affetti da LMA recidivante o refrattaria con una mutazione IDH1. Lo studio ha esaminato gli effetti di dosi diverse di Tibsovo. Tibsovo non è stato confrontato con altri medicinali. Come principale parametro dell'efficacia è stato considerato il numero di pazienti che non mostravano più i segni della malattia dopo il trattamento, con o senza normalizzazione della conta delle cellule ematiche.

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 aveva formulato degli elenchi di domande. Dopo la valutazione da parte dell'Agenzia delle risposte della 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 agli elenchi di domande poste dall'Agenzia, al momento del ritiro della domanda, l'Agenzia aveva avuto alcuni dubbi ed era provvisoriamente del parere che Tibsovo non potesse essere autorizzato per il trattamento della LMA.

L'Agenzia ha concluso che lo studio principale non forniva prove sufficienti dell'efficacia del medicinale nel trattamento della LMA con mutazione del gene IDH1.

Pertanto, al momento del ritiro della domanda, l'Agenzia riteneva che la ditta non avesse fornito dati sufficienti a sostegno della domanda per Tibsovo.

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 dichiarato di aver deciso di ritirare la domanda in quanto l'Agenzia considerava i dati forniti non sufficienti per consentirle di dedurre un rapporto positivo fra benefici e rischi per l'indicazione proposta.

Il ritiro della domanda influisce sui pazienti inseriti in studi clinici?

La ditta ha informato l'Agenzia che non vi sono conseguenze per i pazienti inseriti in studi clinici con Tibsovo.

Le persone inserite in uno studio clinico che abbiano bisogno di maggiori informazioni sul proprio trattamento possono consultare il medico dello studio clinico.