



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2020 m. sausio 31 d.
EMA/47029/2020
EMA/H/C/004324

Paraiškos gauti Idhifa (enasidenibo) registracijos pažymėjimą atsiėmimas

Bendrovė „Celgene Europe B.V.“ atsiėmė savo paraišką gauti vaisto Idhifa, skirto ūmine mieloidine leukemija (MFL) sergančių suaugusiųjų gydymui, registracijos pažymėjimą.

Bendrovė paraišką atsiėmė 2019 m. gruodžio 6 d.

Kas yra Idhifa ir kokiais atvejais jį buvo numatyta vartoti?

Idhifa buvo sukurtas kaip vaistas nuo vėžio, skirtas gydyti MFL sergančius suaugusius pacientus, kurių vėžinėse ląstelėse nustatyta baltymo, vadinamo IDH2, geno mutacija (pakitimas), ir kuriems negalima taikyti intensyvaus vėžio gydymo. Idhifa buvo numatyta skirti pacientams, kurių liga nereagavo į anksčiau taikytą gydymą (refrakterinė MFL), įskaitant atliktą hematopoetinių kamieninių ląstelių transplantaciją (kai persodinamos ląstelės, iš kurių gali išsivystyti įvairių rūšių kraujo ląstelės), arba atsinaujino (recidyvavo) po tokio gydymo.

Idhifa sudėtyje yra veikliosios medžiagos enasidenibo ir jį buvo numatyta tiekti tablečių forma.

Pagal MFL gydymo indikaciją Idhifa 2016 m. balandžio 28 d. priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie vaistų priskyrimą retųjų vaistų kategorijai rasite Agentūros tinklalapyje adresu: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161640.

Kaip veikia Idhifa?

Veikdama veikloji Idhifa medžiaga enasidenibas slopina mutavusių formų IDH2 – baltymo, kuris atlieka svarbų vaidmenį generuojant ląstelėms reikiama energiją, – veikimą. Mutavus IDH2, paciento organizme gaminama daug medžiagos, vadinamos D-2-HG, kuri skatina vėžinių ląstelių augimą. Slopindamas mutavusių formų IDH2 veikimą, enasidenibas turėtų slopinti D-2-HG gamybą ir taip sulėtinti ligos progresavimą.

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



Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Keytruda buvo tiriamas atliekant pagrindinį tyrimą, kuriame dalyvavo 214 ŪML sergančių pacientų, kuriems buvo nustatyta IDH2 geno mutacija. Idhifa nebuvo lyginamas su jokių kitu vaistu ir pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo pacientų, kuriems po gydymo nepasireiškė ligos požymiai, skaičius.

Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?

Paraiška atsiimta, kai Europos vaistų agentūra jau buvo įvertinusi bendrovės pateiktą informaciją ir parengusi bendrovei skirtus klausimus. Agentūrai įvertinus bendrovės atsakymus į paskutinį kartą pateiktus klausimus, vis dar buvo likę neišspręstų klausimų.

Kokia tuo metu buvo agentūros rekomendacija?

Remdamasi peržiūrėta informacija ir bendrovės atsakymais į Agentūros parengtus klausimus, paraiškos atsiėmimo metu Agentūra dar turėjo abejonių ir buvo priėmusi negalutinę nuomonę, kad Idhifa negali būti registruotas ŪML gydymui.

Agentūra laikėsi nuomonės, kad remiantis tyrimo rezultatais negalima padaryti išvados, kad Idhifa yra pakankamai veiksmingas gydant recidyvavusią arba refrakterinę ŪML, esant IDH2 geno mutacijai.

Todėl paraiškos atsiėmimo metu Agentūra laikėsi nuomonės, kad Idhifa teikiama nauda nėra didesnė už jo keliamą riziką.

Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?

[Laiške](#), kuriuo agentūrai pranešta apie paraiškos atsiėmimą, bendrovė nurodė negalinti visiškai išspręsti svarbiausių klausimų, dėl kurių Agentūra nesutinka, kad būtų išduotas registracijos pažymėjimas.

Ar šios paraiškos atsiėmimas turės įtakos pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose?

Bendrovė pranešė Agentūrai, kad šis atsisakymas neturės jokių pasekmių klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose dalyvaujantiems, Idhifa vartojantiems pacientams.

Jeigu dalyvaujate klinikiniame tyrime arba labdaringo vartojimo programoje ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie Jums taikomą gydymą, pasikalbėkite su savo gydytoju.