



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2020 m. lapkričio 13 d.
EMA/577847/2020
EMA/H/C/005056

Paraiškos gauti Tibsovo (ivosidenibo) registracijos pažymėjimą atsiėmimas

Bendrovė „Agios Netherlands B.V.“ atsiėmė savo paraišką gauti Tibsovo, skirto ūminės mieloidinės leukemijos (ŪML) – baltųjų kraujo ląstelių vėžio – gydymui, registracijos pažymėjimą.

Bendrovė paraišką atsiėmė 2020 m. spalio 13 d.

Kas yra Tibsovo ir kokiais atvejais jį buvo numatyta vartoti?

Tibsovo buvo kuriamas kaip vaistas, kuriuo buvo numatyta gydyti atsinaujinusią (recidyvavusią) arba po anksčiau taikyto gydymo nepalengvėjusią (refrakterinę) ŪML sergančius suaugusiuosius, kurių vėžinėse ląstelėse nustatyta fermento IDH1 geno mutacija. Vaistą buvo numatyta skirti:

- pacientams, kuriems anksčiau taikyti bent du gydymo kursai, įskaitant bent vieną standartinį intensyviosios chemoterapijos kursą;
- pacientams, kuriems negalima taikyti standartinio intensyvaus vėžio gydymo ir kurie išbandė bent vieną neintensyvų gydymo būdą.

Tibsovo sudėtyje yra veikliosios medžiagos ivosidenibo ir jį buvo numatyta tiekti tablečių forma.

2016 m. gruodžio 12 d. Tibsovo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai pagal ŪML gydymo indikaciją. Daugiau informacijos apie vaistų priskyrimą retųjų vaistų kategorijai rasite Agentūros tinklalapyje adresu:

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

Kaip veikia Tibsovo?

Veiklioji Tibsovo medžiaga ivosidenibas veikia slopindamas mutavusių formų IDH1 veikimą. Mutavus IDH1, paciento organizme gaminama daug medžiagos, vadinamos D-2-hidroksi gliutaratu (D-2-HG), kuri skatina vėžinių ląstelių augimą. Manoma, kad slopindamas mutavusių formų IDH2 veikimą, ivosidenibas turėtų slopinti D-2-HG gamybą ir taip padėti kontroliuoti ligą.

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?

Bendrovė pateikė pagrindinio tyrimo, kuriame dalyvavo 179 recidyvavusia arba refrakterine ŪML sergantys pacientai, kuriems buvo nustatyta IDH1 geno mutacija, rezultatai. Atliekant šį tyrimą, buvo analizuojamas skirtingų Tibsovo dozių poveikis. Tibsovo nebuvo lyginamas su jokių kitų vaistų, o pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo pacientų, kuriems po gydymo išnyko ligos požymiai ir atsistatė arba neatsistatė normalūs kraujo ląstelių skaičiai, 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 peržiūrėtais duomenimis ir bendrovės atsakymais į Agentūros parengtus klausimus, paraiškos atsiėmimo metu Agentūra dar turėjo abejonių ir buvo priėmusi negalutinę nuomonę, kad ŪML negali būti registruotas ŪML gydymui.

Agentūra priėjo prie išvados, kad pagrindinio tyrimo duomenų nepakanka, siekiant įrodyti, kad šis vaistas yra veiksmingas gydant ŪML, esant IDH1 geno mutacijai.

Todėl paraiškos atsiėmimo metu Agentūra laikėsi nuomonės, kad bendrovė kartu su paraiška gauti Tibsovo registracijos pažymėjimą pateikė nepakankamai duomenų.

Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?

[Laiške](#), kuriuo Agentūrai pranešta apie paraiškos atsiėmimą, bendrovė nurodė paraišką atsiėmusi dėl to, kad turimų duomenų nepakako, siekiant įrodyti, kad pagal siūlomą indikaciją vartojamo vaisto naudos ir rizikos santykis yra teigiamas.

Ar šios paraiškos atsiėmimas turės įtakos pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose?

Bendrovė pranešė Agentūrai, kad tai neturės jokių pasekmių pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose, kurių metu vartojamas Tibsovo.

Jei dalyvaujate klinikiniame tyrime ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie Jums taikomą gydymą, kreipkitės į savo klinikinio tyrimo gydytoją.