



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2020. gada 31. janvāris
EMA/47029/2020
EMA/H/C/004324

Idhifa (enasideniba) reģistrācijas apliecības pieteikuma atsaukšana

Uzņēmums *Celgene Europe B.V.* atsauca zāļu *Idhifa* reģistrācijas apliecības pieteikumu. Šīs zāles bija paredzēts izmantot akūtas mieloleikozes (AML), balto asins šūnu vēža, ārstēšanai pieaugušajiem.

Uzņēmums pieteikumu atsauca 2019. gada 6. decembrī.

Kas ir *Idhifa* un kādam nolūkam tās bija paredzēts lietot?

Idhifa tika izstrādāta kā pretvēža zāles AML ārstēšanai pieaugušajiem, kuriem vēža šūnās ir mutācija (izmaiņas) olbaltumvielas IDH2 gēnā un kuri nevar saņemt intensīvu pretvēža ārstēšanu. *Idhifa* bija paredzēts lietot pacientiem, kuriem slimība nebija reaģējusi (refraktora) vai bija atgriezies (recidivējusi) pēc iepriekšējās ārstēšanas, kas ietvēra asinsrades cilmes šūnu transplantāciju (tādu šūnu pārstādīšanu, no kurām var izveidoties dažādu veidu asins šūnas).

Idhifa satur aktīvo vielu enasidenibu, un bija paredzēts, ka šīs zāles būs pieejamas tabletēs.

2016. gada 28. aprīlī *Idhifa* piešķīra retu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statusu AML ārstēšanai. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama Eiropas Zāļu aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161640.

Kā *Idhifa* darbojas?

Idhifa aktīvā viela enasidenibs darbojas, bloķējot mutētu IDH2 formu darbību; IDH2 ir olbaltumviela, kurai ir būtiska nozīme šūnu enerģijas ražošanā. Mutēta IDH2 izraisa augstu vielas D-2-HG līmeni, kas veicina vēža šūnu augšanu. Paredzams, ka, bloķējot mutētā IDH2 darbību, enasidenibs mazinātu D-2-HG veidošanos un tādējādi palēninātu slimības progresēšanu.

Kādus dokumentus uzņēmums iesniedza pieteikuma pamatošanai?

Idhifa tika pētītas pamatpētījumā, iesaistot 214 pacientus ar AML, kuriem bija IDH2 mutācija. *Idhifa* netika salīdzināta ar citām zālēm, un galvenais efektivitātes rādītājs bija to pacientu skaits, kuriem pēc ārstēšanas nebija slimības pazīmju.

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



Kurā pieteikuma vērtēšanas posmā pieteikumu atsauca?

Pieteikumu atsauca, kad Eiropas Zāļu aģentūra bija izvērtējusi uzņēmuma iesniegto informāciju un sagatavojusi jautājumus uzņēmumam. Novērtējusi uzņēmuma sniegtās atbildes uz pēdējā posma jautājumiem, aģentūra konstatēja, ka dažas problēmas vēl nav atrisinātas.

Kāds bija aģentūras ieteikums tajā laikā?

Pamatojoties uz izskatītajiem datiem un uzņēmuma atbildēm uz aģentūras jautājumiem, atsaukšanas brīdī aģentūrai bija daži iebildumi, un aģentūra tobrīd provizoriski atzina, ka *Idhifa* nevarēja apstiprināt AML ārstēšanai.

Aģentūra uzskatīja, ka pētījuma rezultāti neļauj secināt, ka *Idhifa* spēj pietiekami efektīvi ārstēt recidivējušu vai refraktoru AML ar IDH2 mutāciju.

Tāpēc atsaukšanas brīdī aģentūra uzskatīja, ka *Idhifa* sniegtie ieguvumi neatsver to radīto risku.

Kā uzņēmums pamatoja pieteikuma atsaukšanu?

[Vēstulē](#), kurā uzņēmums informēja aģentūru par pieteikuma atsaukšanu, tas paziņoja, ka nevarēja pilnībā atrisināt aģentūras izteiktos iebildumus.

Vai šis atsaukums ietekmēs pacientus, kuri piedalās klīniskajos pētījumos vai līdzcietīgas zāļu lietošanas programmās?

Uzņēmums informēja aģentūru, ka atteikums neietekmēs pacientus, kuri piedalās klīniskajos pētījumos vai līdzcietīgas zāļu lietošanas programmās ar *Idhifa*.

Ja Jūs pašlaik piedalāties klīniskā pētījumā vai līdzcietīgas zāļu lietošanas programmā un vēlaties saņemt plašāku informāciju par terapiju, jautājiet savam ārstam.