



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Intrekking van de aanvraag van een vergunning voor het in de handel brengen van Idhifa (enasidenib)

Celgene Europe B.V. heeft haar aanvraag voor een vergunning voor het in de handel brengen van Idhifa ingetrokken. Idhifa was bedoeld voor de behandeling van volwassenen met acute myeloïde leukemie (AML) (een kanker van de witte bloedcellen).

De firma heeft de aanvraag op 6 december 2019 ingetrokken.

Wat is Idhifa en voor welke behandeling was het bedoeld?

Idhifa is ontwikkeld als geneesmiddel tegen kanker voor de behandeling van AML bij volwassen patiënten van wie de kankercellen een mutatie (verandering) hebben in het gen voor het eiwit IDH2 en die geen intensieve behandeling tegen kanker kunnen ondergaan. Idhifa zou worden gebruikt bij patiënten bij wie de ziekte niet op de behandeling had gereageerd (refractair was) of was teruggekomen (recidiverend was) na eerdere behandelingen, waaronder een hematopoëtische stamceltransplantatie (transplantatie van cellen die zich tot verschillende soorten bloedcellen kunnen ontwikkelen).

Idhifa bevat de werkzame stof enasidenib en zou verkrijgbaar zijn geworden in de vorm van tabletten.

Idhifa werd op 28 april 2016 voor de behandeling van AML aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame ziekten). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u op de website van het Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161640.

Hoe werkt Idhifa?

De werkzame stof in Idhifa, enasidenib, blokkeert de werking van gemuteerde vormen van IDH2, een eiwit dat een belangrijke rol speelt bij het opwekken van energie voor cellen. Gemuteerd IDH2 produceert hoge concentraties van een stof genaamd D-2-HG, die bijdraagt tot de groei van kankercellen. Doordat enasidenib de werking van gemuteerd IDH2 blokkeert, wordt verwacht dat het de productie van D-2-HG vermindert en zo de progressie van de ziekte vertraagt.

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



Welke documentatie heeft de firma ingediend als ondersteuning van de aanvraag?

Idhifa werd onderzocht in een hoofdonderzoek onder 214 patiënten met AML die een IDH2-mutatie hadden. Idhifa werd niet vergeleken met andere geneesmiddelen en de voornaamste graadmeter voor de werkzaamheid was het aantal patiënten dat na de behandeling geen tekenen van de ziekte vertoonde.

In welke beoordelingsfase werd de aanvraag ingetrokken?

De firma heeft de aanvraag ingetrokken nadat het Europees Geneesmiddelenbureau de door haar verstrekte informatie had bestudeerd en vragen voor de firma had opgesteld. Nadat het Geneesmiddelenbureau de antwoorden van de firma op de laatste reeks vragen had beoordeeld, waren er toch nog onopgeloste punten.

Wat was de aanbeveling van het Geneesmiddelenbureau op dat moment?

Op basis van de bestudering van de gegevens en het antwoord van de firma op de vragen van het Geneesmiddelenbureau, had het Bureau op het ogenblik van de intrekking een aantal bedenkingen en was het de voorlopige mening toegedaan dat Idhifa niet kon worden goedgekeurd voor de behandeling van AML.

Het Geneesmiddelenbureau was van mening dat op basis van de resultaten van het onderzoek niet kon worden geconcludeerd dat Idhifa voldoende werkzaam was voor de behandeling van recidiverende of refractaire AML met een IDH2-mutatie.

Daarom was het Geneesmiddelenbureau op het ogenblik van de intrekking van mening dat de voordelen van Idhifa niet opwogen tegen de risico's ervan.

Welke redenen gaf de firma voor het intrekken van de aanvraag?

In de [brief](#) waarin de firma het Geneesmiddelenbureau op de hoogte brengt van de intrekking van de aanvraag, stelde de firma dat zij niet in staat was om de belangrijkste bezwaren van het Bureau volledig weg te nemen.

Heeft deze intrekking gevolgen voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven of het geneesmiddel met speciale toestemming krijgen toegediend?

De firma heeft het Geneesmiddelenbureau meegedeeld dat er geen gevolgen zijn voor patiënten die momenteel deelnemen aan klinische proeven met Idhifa, noch voor patiënten die het geneesmiddel met speciale toestemming krijgen toegediend.

Indien u deelneemt aan een klinische proef of het geneesmiddel met speciale toestemming krijgt en meer informatie wenst over uw behandeling, neemt u dan contact op met uw arts.