



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Intrekking van de aanvraag van een vergunning voor het in de handel brengen van Tibsovo (ivosidenib)

Agios Netherlands B.V. heeft haar aanvraag voor een vergunning voor het in de handel brengen van Tibsovo ingetrokken. Tibsovo was bedoeld voor de behandeling van acute myeloïde leukemie (AML), een vorm van kanker van de witte bloedcellen.

De firma heeft de aanvraag op 13 oktober 2020 ingetrokken.

Wat is Tibsovo en voor welke behandeling was het bedoeld?

Tibsovo werd ontwikkeld als een geneesmiddel voor de behandeling van AML die is teruggekomen (recidiverend is) of met eerdere behandeling niet is verminderd (refractair is) bij volwassenen bij wie de kankercellen een mutatie (verandering) in het gen hebben voor een enzym genaamd IDH1. Het zou worden gebruikt bij:

- patiënten die twee eerdere behandelingen hadden gekregen, waaronder ten minste één intensieve standaardbehandeling met chemotherapie;
- patiënten die geen intensieve standaardbehandeling tegen kanker kunnen ondergaan en ten minste één niet-intensieve behandeling hebben geprobeerd.

Tibsovo bevat de werkzame stof ivosidenib en zou verkrijgbaar zijn in de vorm van tabletten.

Tibsovo werd op 12 december 2016 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u op de website van het Geneesmiddelenbureau:

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

Hoe werkt Tibsovo?

De werkzame stof in Tibsovo, ivosidenib, blokkeert de werking van gemuteerde vormen van IDH1. Gemuteerd IDH1 produceert hoge concentraties van een stof genaamd D-2-hydroxyglutaraat (D-2-HG), die bijdraagt tot de groei van kankercellen. Doordat ivosidenib de werking van gemuteerd IDH1

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



blokkeert, wordt verwacht dat het de productie van D-2-HG vermindert en zo de ziekte onder controle houdt.

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

De firma overlegde resultaten van een hoofdstudie onder 179 patiënten met recidiverende of refractaire AML met een IDH1-mutatie. Tijdens de studie werden de effecten van verschillende doses Tibsovo onderzocht. Tibsovo 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 meer vertoonde, met of zonder normalisatie van het aantal bloedcellen.

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 Geneesmiddelenbureau op het ogenblik van de intrekking enkele bedenkingen en was het de voorlopige mening toegedaan dat Tibsovo voor de behandeling van AML niet kon worden goedgekeurd.

Het Geneesmiddelenbureau was van oordeel dat de hoofdstudie niet voldoende bewijs had opgeleverd om te kunnen concluderen dat het geneesmiddel werkzaam is voor de behandeling van AML met een IDH1-mutatie.

Daarom was het Geneesmiddelenbureau op het ogenblik van de intrekking van mening dat de firma onvoldoende informatie had overgelegd ter ondersteuning van de aanvraag voor Tibsovo.

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 de aanvraag introk omdat het Geneesmiddelenbureau van mening was dat op basis van de beschikbare gegevens geen positieve baten-risicoverhouding voor het geneesmiddel kon worden vastgesteld voor de voorgestelde indicatie.

Heeft deze intrekking gevolgen voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven?

De firma deelde het Geneesmiddelenbureau mee dat er geen gevolgen zijn voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven met Tibsovo.

Indien u deelneemt aan een klinische proef en meer informatie wenst over uw behandeling, neemt u dan contact op met uw onderzoeksarts.