



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

31 stycznia 2020 r.
EMA/47029/2020
EMA/H/C/004324

Wycofanie wniosku o dopuszczenie do obrotu dotyczącego produktu Idhifa (enasidenib)

Firma Celgene Europe B.V. wycofała wniosek o dopuszczenie do obrotu produktu Idhifa, który miał być stosowany w leczeniu dorosłych pacjentów z ostrą białaczką szpikową (AML) — nowotworem krwinek białych.

Firma wycofała wniosek w dniu 6 grudnia 2019 r.

Co to jest produkt Idhifa i w jakim celu miał być stosowany?

Lek Idhifa opracowano jako lek przeciwnowotworowy do stosowania w leczeniu AML u dorosłych pacjentów, u których występuje mutacja (zmiana) genu kodującego białko o nazwie IDH2 i którzy nie mogą otrzymywać intensywnego leczenia przeciwnowotworowego. Lek Idhifa miał być stosowany u pacjentów, u których choroba nie odpowiedziała na leczenie (jest oporna na leczenie) albo doszło do jej wznowy (jest nawrotowa) po wcześniejszym leczeniu, w tym po przeszczepieniu krwiotwórczych komórek macierzystych (przeszczepieniu komórek, które mogą przekształcać się w różne rodzaje krwinek).

Lek Idhifa zawiera substancję czynną enasidenib i miał mieć postać tabletek.

W dniu 28 kwietnia 2016 r. lek Idhifa uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w leczeniu AML. Więcej informacji na temat uznania za lek sierocy można znaleźć na stronie Agencji: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161640.

Jak działa produkt Idhifa?

Substancja czynna leku Idhifa, enasidenib, blokuje działanie zmutowanych form białka IDH2, które odgrywa ważną rolę w generowaniu energii dla komórek. Zmutowane białko IDH2 powoduje wydzielanie dużych ilości substancji o nazwie D-2-HG, która przyczynia się do wzrostu komórek nowotworowych. Oczekuje się, że dzięki zablokowaniu działania zmutowanego białka IDH2 enasidenib ograniczy wydzielanie D-2-HG i w ten sposób spowolni progresję choroby.

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



Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?

Lek Idhifa był badany w ramach badania głównego, w którym wzięło udział 214 pacjentów z AML i mutacją IDH2. Produktu Idhifa nie porównywano z innymi lekami, a głównym kryterium oceny skuteczności była liczba pacjentów bez objawów przedmiotowych choroby po zastosowaniu leczenia.

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Wniosek wycofano po przeprowadzeniu przez Europejską Agencję Leków oceny informacji przedłożonych przez firmę i przygotowaniu pytań do firmy. Po tym, jak Agencja oceniła odpowiedzi firmy na ostatnią serię pytań, kilka kwestii pozostało nierozwiązanych.

Jakie zalecenia wydała wówczas Agencja?

W momencie wycofania wniosku Agencja zgłosiła pewne zastrzeżenia na podstawie przeglądu danych i odpowiedzi firmy na pytania Agencji i wstępna opinia wskazywała, że produkt Idhifa nie może być zatwierdzony w leczeniu AML.

Agencja uznała, że wyniki badania nie pozwalają jednoznacznie stwierdzić, że produkt Idhifa był wystarczająco skuteczny w leczeniu nawrotowej albo opornej na leczenie AML z mutacją IDH2.

Dlatego też w momencie wycofania wniosku zdaniem Agencji korzyści ze stosowania produktu Idhifa nie przewyższały ryzyka.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

W swoim [piśmie](#) powiadamiającym Agencję o wycofaniu wniosku firma oświadczyła, że nie może w pełni ustosunkować się do obaw wyrażonych przez Agencję.

Jakie są skutki wycofania dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych lub programach „leczenia ostatniej szansy”?

Firma powiadomiła Agencję, że nie ma żadnych skutków dla pacjentów biorących udział w badaniach klinicznych lub programach leczenia ostatniej szansy z użyciem produktu Idhifa.

W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych lub programie leczenia ostatniej szansy i potrzeby uzyskania dokładniejszych informacji o leczeniu należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym.