



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13 listopada 2020 r.
EMA/577847/2020
EMA/H/C/005056

Wycofanie wniosku o dopuszczenie do obrotu dotyczącego produktu Tibsovo (iwosydenibu)

Firma Agios Netherlands B.V. wycofała wniosek o dopuszczenie do obrotu produktu Tibsovo, który miał być stosowany w leczeniu ostrej białaczki szpikowej (AML) – nowotworu krwinek białych.

Firma wycofała wniosek 13 października 2020 r.

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

Lek Tibsovo opracowano jako lek do stosowania w leczeniu AML, która pojawiła się ponownie (choroba nawrotowa) lub w przypadku której poprzednie leczenie nie dało poprawy (choroba oporna na leczenie), u pacjentów dorosłych, u których w komórkach nowotworowych występuje mutacja (zmiana) w genie kodującym enzym o nazwie IDH1. Lek miał być stosowany u:

- pacjentów, którzy otrzymali wcześniej dwa rodzaje leczenia, w tym co najmniej jedno zgodne ze standardem postępowania intensywne leczenie obejmujące chemioterapię,
- pacjentów, którzy nie mogą przyjmować zgodnego ze standardem postępowania intensywnego leczenia przeciwnowotworowego i u których podjęto próbę zastosowania co najmniej jednego leczenia innego niż intensywne.

Lek Tibsovo zawiera substancję czynną iwosydenib i miał mieć postać tabletek.

W dniu 12 grudnia 2016 r. lek Tibsovo uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w przypadku AML. Więcej informacji na temat uznania za lek sierocy można znaleźć na stronie Agencji: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161802.

Jak działa produkt Tibsovo?

Substancja czynna leku Tibsovo, iwosydenib, blokuje działanie zmutowanych form enzymu IDH1. Zmutowany enzym IDH1 powoduje wydzielanie dużych ilości substancji o nazwie D-2-hydroksyglutaran (D-2-HG), która przyczynia się do wzrostu komórek nowotworowych. Oczekuje się, że dzięki zablokowaniu działania zmutowanego enzymu IDH1 iwosydenib ograniczy wydzielanie D-2-HG i w ten sposób pozwoli kontrolować chorobę.

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?

Firma przedstawiła wnioski z badania głównego z udziałem 179 pacjentów z nawrotową bądź oporną na leczenie AML z mutacją IDH1. W badaniu sprawdzano skutki podania różnych dawek leku Tibsovo. Produktu Tibsovo nie porównywano z innymi lekami, a głównym kryterium oceny skuteczności była liczba pacjentów bez objawów przedmiotowych choroby po zastosowaniu leczenia, niezależnie od wystąpienia normalizacji liczby komórek krwi.

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 listy pytań. 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 Tibsovo nie może być zatwierdzony w leczeniu AML.

Agencja uznała, że z badania głównego nie uzyskano wystarczających dowodów wskazujących na skuteczność leku w leczeniu AML z mutacją IDH1.

Dlatego też w momencie wycofania wniosku zdaniem Agencji firma nie dostarczyła wystarczającej ilości danych na poparcie wniosku dotyczącego produktu Tibsovo.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

W swoim [piśmie](#) powiadamiającym Agencję o wycofaniu wniosku firma oświadczyła, że wycofuje wniosek, ponieważ Agencja uznała, że dostępne dane nie wystarczają do stwierdzenia dodatniego stosunku korzyści do ryzyka w przypadku proponowanego wskazania.

Jakie są skutki wycofania dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych?

Firma powiadomiła Agencję, że nie ma żadnych skutków dla pacjentów obecnie biorących udział w badaniach klinicznych z użyciem produktu Tibsovo.

W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych i potrzeby uzyskania dokładniejszych informacji o leczeniu należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym badanie.