



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

31 de janeiro de 2020  
EMA/47029/2020  
EMA/H/C/004324

## Retirada do pedido de Autorização de Introdução no Mercado para Idhifa (enasidenib)

A Celgene Europe B.V. retirou o pedido de autorização de introdução no mercado do Idhifa para o tratamento de adultos com leucemia mieloide aguda (LMA), um cancro dos glóbulos brancos.

A empresa retirou o pedido em 6 de dezembro de 2019.

### O que é o Idhifa e qual a utilização prevista?

O Idhifa foi desenvolvido como um medicamento contra o cancro para o tratamento da LMA em doentes adultos cujas células cancerígenas apresentam uma mutação (alteração) de uma proteína denominada IDH2 e que não podem receber tratamento intensivo contra o cancro. O Idhifa destinava-se a ser utilizado em doentes adultos cuja doença não respondia ao tratamento (refratária) ou regressou (recidivante) após tratamentos anteriores, incluindo um transplante de células estaminais hematopoiéticas (um transplante de células que podem transformar-se em diferentes tipos de células sanguíneas).

O Idhifa contém a substância ativa enasidenib e iria ser disponibilizado na forma de comprimidos.

O Idhifa foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 28 de abril de 2016 para o tratamento da LMA. Para mais informações sobre a designação de medicamento órfão, consulte o sítio Internet da Agência: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161640](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161640).

### Como funciona o Idhifa?

A substância ativa do Idhifa, enasidenib, atua através do bloqueio da ação de formas mutadas de IDH2, uma proteína que tem uma ação importante na produção de energia para as células. A proteína IDH2 mutada produz níveis elevados de uma substância denominada D-2-HG, que contribui para o crescimento de células cancerígenas. Ao bloquear a ação da proteína IDH2 mutada, espera-se que o enasidenib reduza a produção de D-2-HG e, assim, abrande a progressão da doença.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Que documentação foi apresentada pela empresa a acompanhar o pedido?**

O Idhifa foi investigado num estudo principal que envolveu 214 doentes com LMA com uma mutação de IDH2. O Idhifa não foi comparado com qualquer outro medicamento e o principal parâmetro de eficácia foi o número de doentes que não apresentaram sinais da doença após tratamento.

## **Qual o estado de adiantamento do processo de avaliação do pedido quando este foi retirado?**

O pedido foi retirado depois de a Agência Europeia de Medicamentos ter avaliado as informações fornecidas pela empresa e formulado perguntas para a empresa. Após a avaliação, pela Agência, das respostas apresentadas pela empresa à última ronda de perguntas, subsistiam algumas questões.

## **Qual era a recomendação da Agência no momento da retirada?**

Com base na análise dos dados e da resposta da empresa às perguntas da Agência, no momento da retirada, a Agência tinha algumas questões, sendo de parecer que o Idhifa não podia ser autorizado para o tratamento da LMA.

A Agência considerava que os resultados do estudo não permitiam concluir que o Idhifa é suficientemente eficaz no tratamento da LMA recidivante ou refratária com uma mutação de IDH2.

Por conseguinte, no momento da retirada, a Agência considerava que os benefícios do Idhifa não eram superiores aos seus riscos.

## **Quais as razões invocadas pela empresa para retirar o pedido?**

Na [carta](#) a notificar a Agência da retirada do pedido de autorização, a empresa declarou que não lhe seria possível responder cabalmente às principais objeções suscitadas pela Agência.

## **Quais as consequências da retirada do pedido para os doentes incluídos em ensaios clínicos ou programas de uso compassivo em curso?**

A empresa informou a Agência de que não existem consequências para os doentes incluídos em ensaios clínicos ou em programas de uso compassivo com o Idhifa.

Se estiver incluído num ensaio clínico ou num programa de uso compassivo e necessitar de informação adicional sobre o tratamento, fale com o seu médico.