



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Retragerea cererii de autorizare de punere pe piață pentru Idhifa (enasidenib)

Celgene Europe B.V. și-a retras cererea de autorizare de punere pe piață pentru Idhifa, pentru tratamentul adulților cu leucemie mieloidă acută (LMA), un cancer al globulelor albe.

Compania și-a retras cererea la 6 decembrie 2019.

Ce este Idhifa și pentru ce ar fi trebuit să se utilizeze?

Idhifa a fost dezvoltat ca medicament împotriva cancerului pentru tratarea LMA la pacienții adulți ale căror celule canceroase prezintă o mutație (modificare) în gena unei proteine numite IDH2 și cărora nu li se poate administra tratament intensiv împotriva cancerului. Idhifa urma să fie utilizat la pacienții la care boala fie nu a răspuns la tratament (boală refractară), fie a revenit (recidivat) după tratamente anterioare, inclusiv după transplantul de celule stem hematopoietice (transplant de celule care se pot transforma în diferite tipuri de celule sanguine).

Idhifa conține substanța activă enasidenib și urma să fie disponibil sub formă de comprimate.

Idhifa a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în boli rare) la data de 28 aprilie 2016 pentru tratamentul LMA. Informații suplimentare privind desemnarea ca medicament orfan sunt disponibile pe site-ul agenției: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161640.

Cum acționează Idhifa?

Substanța activă din Idhifa, enasidenibul, acționează blocând acțiunea formelor mutante ale IDH2, o proteină care joacă un rol important în generarea de energie pentru celule. În forma mutantă, IDH2 produce niveluri ridicate ale unei substanțe numite D-2-HG, care contribuie la dezvoltarea celulelor canceroase. Se preconizează că, prin blocarea acțiunii IDH2 mutante, enasidenibul reduce producția de D-2-HG, încetinind astfel progresia bolii.

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



Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?

Idhifa a fost investigat într-un studiu principal care a cuprins 214 pacienți cu LMA cu mutația IDH2. Idhifa nu a fost comparat cu niciun alt medicament, iar principala măsură a eficacității a fost numărul de pacienți care nu au prezentat semne ale bolii după tratament.

În ce stadiu se afla evaluarea în momentul retragerii cererii?

Cererea a fost retrasă după ce Agenția Europeană pentru Medicamente evaluase informațiile prezentate de companie și formulase întrebări pentru aceasta. După evaluarea de către agenție a răspunsurilor companiei la ultima rundă de întrebări, existau încă unele probleme nerezolvate.

Care a fost recomandarea agenției în momentul respectiv?

Pe baza analizării datelor și a răspunsului companiei la întrebările agenției, în momentul retragerii cererii agenția avea unele motive de îngrijorare și a dat un aviz provizoriu potrivit căruia Idhifa nu putea fi autorizat pentru tratamentul LMA.

Agenția a considerat că rezultatele studiului nu permit să se concluzioneze că Idhifa este suficient de eficace în tratamentul LMA recidivante sau refractare cu mutație a IDH2.

Prin urmare, la momentul retragerii cererii, în opinia agenției, beneficiile Idhifa nu depășeau riscurile asociate.

Care au fost motivele invocate de companie pentru retragerea cererii?

În [scrisoarea](#) prin care înștiințează agenția cu privire la retragerea cererii, compania a declarat că nu poate să soluționeze integral obiecțiile majore formulate de agenție.

Retragerea acestei cereri afectează pacienții din studii clinice sau din programe de uz compasional?

Compania a informat agenția că nu există consecințe pentru pacienții implicați în studii clinice sau în programe de uz compasional cu Idhifa.

Dacă participați la un studiu clinic sau la un program de uz compasional și aveți nevoie de informații suplimentare despre tratamentul dumneavoastră, adresați-vă medicului.