



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Retragerea cererii de autorizare de punere pe piață pentru Tibsovo (ivosidenib)

Agios Netherlands B.V. și-a retras cererea de autorizare de punere pe piață pentru Tibsovo, pentru tratamentul leucemiei mieloide acute (LMA), un cancer al globulelor albe.

Compania și-a retras cererea la 13 octombrie 2020.

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

Tibsovo a fost dezvoltat ca medicament pentru tratamentul LMA care a revenit (recidivantă) sau care nu a regresat în urma tratamentului anterior (refractară) la adulții la care celulele canceroase au o mutație (modificare) în gena unei enzime numite IDH1. Medicamentul urma să se utilizeze la:

- pacienții care au urmat două tratamente anterioare, dintre care cel puțin un tratament standard intensiv cu chimioterapie;
- pacienții care nu pot să urmeze un tratament standard intensiv împotriva cancerului și care au încercat cel puțin un tratament care nu este intensiv.

Tibsovo conține substanța activă ivosidenib și urma să fie disponibil sub formă de comprimate.

Tibsovo a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în bolile rare) la data de 12 decembrie 2016 pentru LMA. Informații suplimentare privind desemnarea ca medicament orfan sunt disponibile pe site-ul agenției:

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

Cum acționează Tibsovo?

Substanța activă din Tibsovo, ivosidenibul, acționează prin blocarea acțiunii formelor mutante ale genei IDH1. În forma mutantă, gena IDH1 produce niveluri mari ale unei substanțe numite D-2-hidroxioglutarat (D-2-HG), care contribuie la dezvoltarea celulelor canceroase. Se preconizează că, blocând acțiunea genei IDH1 mutante, ivosidenibul ar reduce producția de D-2-HG, ținând astfel boala sub control.

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?

Compania a prezentat rezultate dintr-un studiu principal care a cuprins 179 de pacienți cu LMA recidivantă sau refractară care au mutația genei IDH1. Studiul a investigat efectele a diferite doze de Tibsovo. Tibsovo nu a fost comparat cu niciun alt medicament, iar principala măsură a eficacității a fost numărul de pacienți care nu au mai prezentat semne ale bolii după tratament, cu sau fără normalizarea numărului de celule sanguine.

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 Tibsovo nu putea fi autorizat pentru tratamentul LMA.

Agenția a concluzionat că studiul principal nu a oferit dovezi suficiente privind eficacitatea medicamentului în tratamentul LMA cu mutație a genei IDH1.

Prin urmare, la momentul retragerii cererii, în opinia agenției, compania nu prezentase suficiente date în sprijinul cererii pentru autorizarea Tibsovo.

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 și-a retras cererea deoarece agenția a considerat că datele disponibile nu sunt suficiente pentru a formula o concluzie cu privire la un raport beneficiu-risc pozitiv în indicația propusă.

Retragerea acestei cereri afectează pacienții din studii clinice?

Compania a informat agenția că nu există consecințe pentru pacienții aflați în studii clinice cu Tibsovo.

Dacă participați la un studiu clinic și aveți nevoie de informații suplimentare despre tratamentul dumneavoastră, adresați-vă medicului din studiul respectiv.