



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

31. január 2020
EMA/47029/2020
EMA/H/C/004324

Stiahnutie žiadosti o povolenie na uvedenie na trh pre liek Idhifa (enasidenib)

Spoločnosť Celgene Europe B.V. stiahla svoju žiadosť o povolenie na uvedenie na trh pre liek Idhifa, ktorý je určený na liečbu dospelých s akútnou myeloidnou leukémiou (AML), rakovinou bielych krviniek.

Spoločnosť stiahla žiadosť 6. decembra 2019.

Čo je liek Idhifa a na čo sa mal používať?

Liek Idhifa bol vyvinutý ako protirakovinový liek na liečbu AML u dospelých pacientov, ktorých rakovinové bunky majú mutáciu (zmenu) v géne pre proteín nazývaný IDH2 a ktorí nemôžu podstúpiť intenzívnu protirakovinovú liečbu. Liek Idhifa sa mal používať u pacientov, ktorých choroba neodpovedala na liečbu (refraktérna) alebo ktorým sa choroba vrátila (relaps) po predchádzajúcich liečbach vrátane transplantácie hematopoetických kmeňových buniek (transplantácie buniek, z ktorých sa môžu vyvinúť rôzne druhy krvných buniek).

Liek Idhifa obsahuje liečivo enasidenib a mal byť dostupný vo forme tabliet.

Liek Idhifa bol 28. apríla 2016 označený ako liek na zriedkavé choroby (liek, ktorý sa používa pri zriedkavých chorobách) na liečbu AML. Viac informácií o označovaní liekov ako lieky na zriedkavé choroby sa nachádza na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161640.

Akým spôsobom liek Idhifa účinkuje?

Liečivo lieku Idhifa, enasidenib, účinkuje tak, že blokuje pôsobenie mutovaných foriem proteínu IDH2, čo zohráva dôležitú úlohu pri vytváraní energie pre bunky. Mutovaný proteín IDH2 vytvára vysokú hladinu látky nazývanej D-2-HG, ktorá prispieva k rastu rakovinových buniek. Predpokladá sa, že blokovaním pôsobenia mutovaného proteínu IDH2 enasidenib zníži vytváranie D-2-HG, a tak spomalí progresiu ochorenia.

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



Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Liek Idhifa sa skúmal v hlavnej štúdii zahŕňajúcej 214 pacientov s AML s mutáciou IDH2. Liek Idhifa sa neporovnával so žiadnym iným liekom a hlavným meradlom účinnosti bol počet pacientov, u ktorých sa po liečbe nevyskytovali prejavy ochorenia.

V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?

Žiadosť bola stiahnutá potom, ako Európska agentúra pre lieky vyhodnotila informácie predložené spoločnosťou a pripravila pre spoločnosť otázky. Potom ako agentúra posúdila odpovede spoločnosti na poslednú sériu otázok, ešte stále zostali niektoré otázky nevyriešené.

Aké bolo v tom čase odporúčanie agentúry?

Na základe preskúmania údajov a odpovedí spoločnosti na otázky agentúry mala agentúra v čase stiahnutia žiadosti určité výhrady a dospela k predbežnému stanovisku, že liek Idhifa nemôže byť povolený na liečbu AML.

Agentúra usúdila, že na základe výsledkov štúdie nemožno dospieť k záveru, že liek Idhifa je dostatočne účinný pri liečbe relapsujúcej alebo refraktérnej AML s mutáciou IDH2.

Agentúra preto v čase stiahnutia žiadosti zastávala názor, že prínosy lieku Idhifa neprevyšujú jeho riziká.

Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?

Vo svojom [liste](#) oznamujúcom agentúre stiahnutie žiadosti spoločnosť uviedla, že nebude môcť úplne vyriešiť závažné námietky agentúry.

Má stiahnutie žiadosti nejaké dôsledky pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúšaniach alebo na programoch na použitie lieku v naliehavých prípadoch?

Spoločnosť informovala agentúru, že pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúšaniach lieku Idhifa alebo na programoch na použitie lieku v naliehavých prípadoch nevyplývajú žiadne dôsledky.

Ak sa zúčastňuje na klinickom skúšaní alebo na programe na použitie lieku v naliehavých prípadoch a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.