



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Umik vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Idhifa (enasidenib)

Družba Celgene Europe B.V. je umaknila vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Idhifa za zdravljenje odraslih z akutno mieloično levkemijo, tj. rakom belih krvnih celic.

Družba je vlogo umaknila 6. decembra 2019.

Kaj je zdravilo Idhifa in za kaj naj bi se uporabljalo?

Zdravilo Idhifa je bilo razvito kot zdravilo proti raku za zdravljenje akutne mieloične levkemije pri odraslih bolnikih, pri katerih imajo rakave celice mutacijo (spremembo) v genu za beljakovino, imenovano IDH2, in ki ne morejo prejemati intenzivnega zdravljenja proti raku. Uporabljalo naj bi se pri bolnikih, pri katerih se bolezen ni odzvala na zdravljenje (neodzivna bolezen) ali se je ponovila po predhodnem zdravljenju (recidivna bolezen), vključno s presaditvijo krvotvornih matičnih celic (presaditev celic, ki se lahko razvijejo v različne vrste krvnih celic).

Zdravilo Idhifa vsebuje učinkovino enasidenib in naj bi bilo na voljo v obliki tablet.

Zdravilo Idhifa je bilo 28. aprila 2016 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za zdravljenje akutne mieloične levkemije. Več informacij o zdravilih sirotah je voljo na spletišču agencije: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161640.

Kako zdravilo Idhifa deluje?

Učinkovina v zdravilu Idhifa, enasidenib, zavira delovanje mutiranih oblik beljakovine IDH2, ki ima pomembno vlogo pri pridobivanju energije za celice. Mutirana beljakovina IDH2 proizvaja visoke ravni snovi D-2-HG, ki prispeva k rasti rakavih celic. Enasidenib z zaviranjem delovanja mutirane beljakovine IDH2 naj bi zmanjšal nastajanje snovi D-2-HG in tako upočasnil napredovanje bolezni.

Katero dokumentacijo je družba predložila v podporo svoji vlogi?

Zdravilo Idhifa so proučevali v glavni študiji, ki je vključevala 214 bolnikov z akutno mieloično levkemijo, ki imajo mutacijo IDH2. Zdravila Idhifa niso primerjali z nobenim drugim zdravilom, glavno merilo učinkovitosti pa je bilo število bolnikov, ki po zdravljenju niso več imeli znakov bolezni.

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



Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?

Vlogo so umaknili po tem, ko je Evropska agencija za zdravila že ocenila začetno dokumentacijo, ki jo je predložila družba, in oblikovala seznam vprašanj. Potem ko je agencija ocenila odgovore družbe na zadnji sklop vprašanj, so nekatera vprašanja še vedno ostala nerešena.

Kakšno je bilo takrat priporočilo agencije?

Agencija je na podlagi pregleda podatkov in odgovorov družbe na vprašanja, ki jih je zastavila, ob umiku vloge izrazila določene zadržke in začasno menila, da zdravilo Idhifa ni mogoče odobriti za zdravljenje akutne mieloične levkemije.

Menila je, da rezultati študije ne omogočajo zaključka, da je zdravilo Idhifa dovolj učinkovito pri zdravljenju recidivne ali neodzivne akutne mieloične levkemije z mutacijo IDH2.

Zato je ob umiku vloge menila, da koristi zdravila Idhifa ne odtehtajo z njim povezanih tveganj.

Kakšni so bili razlogi družbe za umik vloge?

Družba je v [dopisu](#), s katerim je agencijo obvestila o umiku vloge, navedla, da ne more v celoti obravnavati zadržkov, ki jih je izrazila agencija.

Kakšne so posledice umika vloge za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih ali programih sočutne uporabe zdravila?

Družba je agencijo obvestila, da zavrnitev nima posledic za bolnike, vključene v klinična preskušanja ali programe sočutne uporabe zdravila Idhifa.

Če ste vključeni v klinično preskušanje ali program sočutne uporabe in potrebujete več informacij o zdravljenju, se obrnite na zdravnika.