



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Återkallande av ansökan om godkännande för försäljning av Idhifa (enasidenib)

Celgene Europe B.V. återkallade sin ansökan om godkännande för försäljning av Idhifa för behandling av vuxna med akut myeloisk leukemi (AML), en cancer i de vita blodkropparna.

Företaget återkallade sin ansökan den 6 december 2019.

Vad är Idhifa och vad skulle det användas för?

Idhifa togs fram som ett cancerläkemedel för behandling av AML hos vuxna patienter vars cancerceller har en mutation (förändring) i genen för ett protein som kallas IDH2 och som inte kan få intensiv cancerbehandling. Idhifa skulle ges till patienter vars sjukdom inte svarade på behandling (refraktär) eller hade återkommit (recidiverad) efter tidigare behandlingar, inräknat en hematopoetisk stamcellstransplantation (en transplantation av celler som kan utvecklas till olika typer av blodkroppar).

Idhifa innehåller den aktiva substansen enasidenib och skulle finnas som tabletter.

Idhifa klassificerades den 28 april 2016 som ett sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) avsett att användas vid behandling av AML. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns på EMA:s webbplats ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161640.

Hur verkar Idhifa?

Den aktiva substansen i Idhifa, enasidenib, verkar genom att blockera effekten av muterade former av IDH2, ett protein som spelar en viktig roll vid skapandet av energi för cellerna. Muterat IDH2 producerar höga halter av ett ämne som kallas D-2-HG, som hjälper cancerceller att växa. Enasidenib förväntas minska produktionen av D-2-HG genom att blockera effekten av muterat IDH2 och på så vis sakta ner sjukdomens utveckling.



Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Idhifa undersöktes i en huvudstudie på 214 patienter med AML som bar på en IDH2-mutation. Idhifa jämfördes inte med något annat läkemedel och huvudmålet på effekt var antalet patienter som inte uppvisade symtom på sjukdomen efter behandling.

Hur långt hade utvärderingen kommit när ansökan drogs tillbaka?

Ansökan drogs tillbaka efter att Europeiska läkemedelsmyndigheten hade utvärderat informationen från företaget och förberett frågor till företaget. Vissa frågetecken kvarstod när myndigheten hade utvärderat företagets svar på den sista omgången frågor.

Vad rekommenderade myndigheten vid den tidpunkten?

Efter genomgång av de inlämnade uppgifterna och företagets svar på myndighetens frågor hyste myndigheten vid tidpunkten för återkallandet vissa betänkligheter och ansåg preliminärt att Idhifa inte skulle ha kunnat godkännas för behandling av AML.

Myndigheten fann att man på grund av studiens resultat inte kunde dra slutsatsen att Idhifa var tillräckligt effektivt vid behandling av recidiverad eller refraktär AML med en IDH2-mutation.

Vid tidpunkten för återkallandet ansåg därför myndigheten att nyttan med Idhifa inte övervägde riskerna.

Vilka skäl angav företaget till att dra tillbaka sin ansökan?

I [skrivelsen](#) till myndigheten om att ansökan återkallas uppgav företaget att det inte fullt ut kunde bemöta de större invändningarna från myndigheten.

Påverkar detta återkallande patienter som deltar i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program?

Företaget informerade myndigheten om att beslutet inte får några följder för patienter i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program med Idhifa.

Om du deltar i en klinisk prövning eller ett s.k. compassionate use-program och behöver mer information om din behandling kan du kontakta din läkare.