



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Återkallande av ansökan om godkännande för försäljning av Tibsovo (ivosidenib)

Agios Netherlands B.V. återkallade sin ansökan om godkännande för försäljning av Tibsovo för behandling av akut myeloisk leukemi (AML), en cancer i de vita blodkropparna.

Företaget återkallade sin ansökan den 13 oktober 2020.

Vad är Tibsovo och vad skulle det användas för?

Tibsovo togs fram som ett läkemedel för behandling av AML som har kommit tillbaka (recidiverande) eller inte har förbättrats med tidigare behandling (refraktär) hos vuxna vars cancerceller har en mutation (förändring) i genen för enzymet IDH1. Det skulle användas på

- patienter som hade fått två tidigare behandlingar, inklusive minst en intensiv standardbehandling med kemoterapi,
- patienter som inte kan få intensiv standardbehandling mot cancer och har prövat minst en icke-invasiv behandling.

Tibsovo innehåller den aktiva substansen ivosidenib och skulle finnas som tabletter.

Den 12 december 2016 klassificerades Tibsovo som särlekemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) avsett att användas vid AML. Mer information om klassificeringen som särlekemedel finns på läkemedelsmyndighetens webbplats:

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

Hur verkar Tibsovo?

Den aktiva substansen i Tibsovo, ivosidenib, verkar genom att blockera de muterade formerna av IDH1. Muterat IDH1 producerar höga halter av ämnet D-2-hydroxiglutarat (D-2-HG), som hjälper cancerceller att växa. Ivosidenib förväntas minska produktionen av D-2-HG genom att blockera effekten av muterat IDH1 och på så sätt hålla sjukdomen under kontroll.

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



Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Företaget presenterade resultat från en huvudstudie med 179 patienter med recidiverande eller refraktär AML som hade en IDH1-mutation. I studien undersöktes effekterna av olika doser av Tibsovo. Tibsovo jämfördes inte med något annat läkemedel och huvudeffektmåttet var antalet patienter som inte längre uppvisade tecken på sjukdomen efter behandling, med eller utan normalisering av blodcellsantalen.

Hur långt hade utvärderingen kommit när ansökan drogs tillbaka?

Ansökan drogs tillbaka efter att Europeiska läkemedelsmyndigheten hade utvärderat informationen från företaget och sammanställt en frågelista. 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 Tibsovo inte skulle ha kunnat godkännas för behandling av AML.

Myndigheten drog slutsatsen att huvudstudien inte gav tillräcklig evidens för att läkemedlet är effektivt vid behandling av AML med en IDH1-mutation.

Vid tidpunkten för återkallandet ansåg myndigheten därför att företaget inte hade lämnat in tillräckliga uppgifter till stöd för sin ansökan för Tibsovo.

Vilka skäl angav företaget till att dra tillbaka sin ansökan?

I [skrivelsen](#) till myndigheten om att ansökan återkallas uppgav företaget att de hade beslutat att återkalla ansökan eftersom tillgängliga data inte räckte för att myndighetens kommitté för humanläkemedel skulle kunna dra slutsatsen att nytta-riskförhållande för läkemedlet var positivt för den föreslagna indikationen.

Påverkar detta återkallande patienter som deltar i kliniska prövningar?

Företaget informerade myndigheten om att återkallandet inte får några följder för patienter som deltar i kliniska prövningar med Tibsovo.

Om du deltar i en klinisk prövning och behöver mer information om din behandling kan du kontakta läkaren i den kliniska prövningen.