

Leucemia Mieloide Acuta e Colangiocarcinoma con mutazione IDH1: parere positivo dal CHMP per ivosidenib

- **Ivosidenib è il primo inibitore di IDH1 di cui è stata raccomandata l'approvazione in Europa**
- **Il parere positivo del CHMP si basa sui dati clinici degli studi AGILE per la Leucemia Mieloide Acuta (LMA) e ClarIDHy per il Colangiocarcinoma (CCA).**

Roma, 27 febbraio 2023 - Servier, azienda farmaceutica globale, ha annunciato oggi che il Comitato per i Medicinali per Uso Umano (CHMP) dell'Agenzia Europea per i Medicinali (EMA) ha adottato un parere positivo e ha raccomandato la concessione dell'autorizzazione all'immissione in commercio di ivosidenib compresse - un inibitore dell'enzima mutato isocitrato deidrogenasi 1 (IDH1) per due indicazioni:

- in combinazione con azacitidina, per il trattamento di pazienti con **Leucemia Mieloide Acuta (LMA) IDH1 mutata di nuova diagnosi** e non candidabili alla chemioterapia di induzione standard
- in monoterapia, per il trattamento di pazienti adulti con **colangiocarcinoma (CCA) IDH1 mutato, localmente avanzato o metastatico, precedentemente trattato.**

Claude Bertrand, Executive Vice President R&D di Servier, ha dichiarato: *"Il parere positivo del CHMP è un ulteriore passo avanti verso la disponibilità nell'Unione Europea di ivosidenib, il primo inibitore di IDH1 di cui è stata raccomandata l'approvazione in Europa per i pazienti affetti da LMA e CCA per i quali le opzioni terapeutiche sono molto limitate. Ivosidenib è il frutto della profonda trasformazione e dell'impegno di Servier in oncologia, che ha intrapreso un percorso promettente per i pazienti, concentrando la sua ricerca sui tumori difficili da trattare e sullo sviluppo di terapie mirate".*

Il parere positivo del CHMP si basa sui dati clinici degli studi AGILE (LMA) e ClarIDHy (CCA).

Hartmut Döhner, Direttore Medico del Dipartimento di Medicina Interna dell'Ospedale Universitario di Ulm, Germania, ha dichiarato: *"Si tratta di un importante traguardo per il trattamento dei pazienti affetti da leucemia mieloide acuta. Circa nell'8% dei casi di questo tipo di tumore è presente la mutazione IDH1 e per questi pazienti questa efficace target therapy rappresenta un'importante opzione terapeutica, con solide prove di miglioramento della sopravvivenza globale e, cosa altrettanto importante, anche della qualità di vita".*

John Bridgewater, MD, Ph.D., Professore e consulente in Oncologia Medica, University College Hospital, Londra: *"Questa è un'ottima notizia per i pazienti con colangiocarcinoma intraepatico avanzato, un tumore con prognosi molto sfavorevole e opzioni terapeutiche limitate. Per circa il 15% dei pazienti che presentano una mutazione IDH1, questa target therapy offrirà una valida opzione terapeutica, mirata ed efficace. Una nuova terapia personalizzata a disposizione dell'oncologia per migliorare il trattamento dei pazienti colpiti da questo tumore raro".*

La LMA è un tumore del sangue e del midollo osseo caratterizzato da una rapida progressione della malattia. È la leucemia acuta più comune negli adulti e colpisce 5/100.000 abitanti in Europa, ovvero più di 20.000 nuovi casi ogni anno¹. Il tasso di sopravvivenza a cinque anni per le persone con più di 60 anni è del 20%².

Il colangiocarcinoma, tumore dei dotti biliari, è un tumore raro e aggressivo, spesso legato ad anamnesi mediche quali cirrosi o infezioni epatiche. Il colangiocarcinoma colpisce 1-3/100.000 abitanti in Europa³. Il tasso di sopravvivenza a cinque anni è del 9%, ma è nullo nelle fasi metastatiche⁴. Solo la chirurgia può curare i pazienti, ma il trattamento è possibile solo per un numero limitato di pazienti e il rischio di recidiva rimane elevato. La chemioterapia

e l'immunoterapia sono le terapie standard per i pazienti con colangiocarcinoma che non possono essere sottoposti a intervento chirurgico o la cui malattia è progredita dopo l'intervento.

Negli Stati Uniti ivosidenib è approvato dall'FDA in combinazione con azacitidina o come monoterapia per il trattamento della LMA IDH1-mutata di nuova diagnosi in adulti di età pari o superiore a 75 anni o che presentano comorbidità che precludono l'uso di una chemioterapia di induzione intensiva e come monoterapia per il trattamento di adulti con LMA IDH1-mutata recidivata o refrattaria. Ivosidenib è approvato negli Stati Uniti anche per i pazienti con colangiocarcinoma IDH1-mutato, localmente avanzato o metastatico, precedentemente trattati. Ivosidenib è approvato in Cina per il trattamento di pazienti adulti con LMA recidivata o refrattaria che presentano una mutazione IDH1⁵.

Il parere positivo del CHMP per ivosidenib nei pazienti affetti da LMA e CCA con mutazione IDH1 sarà sottoposto alla Commissione Europea (CE), che emetterà una decisione finale entro due mesi circa. La decisione sarà applicabile a tutti i 27 Stati membri dell'UE più Islanda, Norvegia, Irlanda del Nord e Liechtenstein.

Per saperne di più sul [colangiocarcinoma](#) e sulla [leucemia mieloide acuta](#), visitate il sito www.servier.it

Servier

Fondato per essere al servizio della salute, Servier è un Gruppo globale governato da una fondazione che aspira ad avere un impatto sociale significativo, sia per i pazienti che per un mondo sostenibile. Grazie al suo modello di governance unico, può seguire appieno la sua vocazione con una visione a lungo termine: impegnarsi nel progresso terapeutico per rispondere alle esigenze dei pazienti. I 21.400 dipendenti del Gruppo sono impegnati in questa vocazione condivisa, fonte di ispirazione quotidiana.

Da leader mondiale in cardiologia, Servier ha l'ambizione di diventare un'Azienda riconosciuta e innovativa, impegnata in oncologia, focalizzandosi sui tumori difficili da trattare. Per questo motivo il Gruppo destina oltre la metà del suo budget in R&D in quest'area terapeutica.

Le neuroscienze e l'area immuno-infiammatoria rappresentano il futuro motore di crescita. In questi settori, Servier si concentra su un numero limitato di patologie attraverso la medicina di precisione.

Per promuovere l'accesso a cure di qualità per tutti a un costo inferiore, il Gruppo offre anche una gamma di farmaci generici che coprono la maggior parte delle patologie in Francia, Europa orientale, Brasile e Nigeria.

Con sede centrale in Francia, Servier conta su una forte presenza geografica in oltre 150 Paesi e ha registrato un fatturato di 4,9 miliardi di euro nel 2022.

Per maggiori info sul Gruppo: www.servier.it; www.servier.com

Segui il Gruppo Servier in Italia sui social:



Contatti

Elena Dalla Longa, External Communication Manager Gruppo Servier in Italia

Mobile +39 344 1808374, elena.dallalonga@servier.com

Giovanna Vetere, Senior Account Manager, Noesis Comunicazione

Mobile +39 348 7022510, giovanna.vetere@noesis.net

Bibliografia

¹ ESMO Guidelines 2020 - Acute myeloid leukemia in adult patients: ESMO Clinical Practice Guidelines for diagnosis, treatment and follow-up

² National Cancer Institute. Surveillance, Epidemiology, and End Results (SEER) Program. Cancer Stat Facts: Acute Myeloid Leukemia (AML). <https://seer.cancer.gov/statfacts/html/amyl.html>. Accessed December 7, 2017.)

³ Valle JW, et al. *Ann Oncol*. 2016;27(Suppl. 5):v28-v37

⁴ Oliveira IS, et al. *Abdom Radiol (NY)*. 2017;42(6):1637-1649

⁵ Servier has granted an exclusive license agreement to CStone for the development and commercialization of ivosidenib tablets in Mainland China, Taiwan, Hong Kong, Macau and Singapore.