



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

23. května 2014
EMA/298222/2014
EMA/H/C/002659

Otázky a odpovědi

Zamítnutí registrace přípravku Masiviera (masitinib)

Výsledek přezkoumání

Dne 23. ledna 2014 přijal Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) záporné stanovisko ve věci registrace léčivého přípravku Masiviera určeného k léčbě pokročilého inoperabilního karcinomu pankreatu a doporučil registraci tohoto přípravku zamítnout. Žádost o registraci podala společnost AB Science.

Žadatel požádal o přezkoumání stanoviska. Výbor CHMP poté, co posoudil důvody tohoto požadavku, přezkoumal své původní stanovisko a dne 22. května 2014 potvrdil zamítnutí registrace.

Co je Masiviera?

Masiviera je protinádorový léčivý přípravek, který obsahuje léčivou látku masitinib. K dispozici měl být ve formě tablet.

K čemu měl být přípravek Masiviera používán?

Přípravek Masiviera měl být používán k léčbě dospělých s nádorovým onemocněním pankreatu (slinivky břišní, jednoho z orgánů trávicí soustavy), které se šíří do okolí nebo metastazuje (šíří se do jiných částí těla), není operabilní (není u něj vhodné chirurgické řešení) a je spojeno s alespoň mírnou bolestí. Měl se používat v kombinaci s jiným protinádorovým léčivem, gemcitabinem.

Přípravek Masitinib byl dne 28. října 2009 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“ k léčbě karcinomu pankreatu. Další informace naleznete [zde](#).

Jak by měl přípravek Masiviera působit?

Léčivá látka v přípravku Masiviera, masitinib, je inhibitor tyrosinkinázy. To znamená, že blokuje určité enzymy známé jako tyrosinkinázy. Tyto enzymy se nacházejí v některých receptorech na povrchu nádorových buněk, včetně receptorů, které se účastní stimulace nekontrolovatelného buněčného dělení. Blokádou těchto receptorů by mohl přípravek Masiviera pomoci kontrolovat dělení buněk, a tak zpomalit růst zhoubného nádoru.



Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Účinky přípravku Masiviera byly nejprve testovány na experimentálních modelech a teprve poté na lidech.

Společnost předložila výsledky jedné hlavní studie zahrnující 353 pacientů s pokročilým nebo metastazujícím karcinomem pankreatu. Přípravek Masiviera byl porovnáván s placebem (léčbou neúčinným přípravkem) při přidání k léčbě gemcitabinem. Hlavním měřítkem účinnosti byla doba, po kterou pacienti s onemocněním přežili. Společnost rovněž předložila různé podpůrné analýzy a informace z podpůrné studie.

Jaké byly hlavní důvody, které vedly výbor CHMP k zamítnutí registrace?

V době počátečního hodnocení výbor CHMP uvedl, že výsledky hlavní studie s přípravkem Masiviera neprokázaly účinnost v celé skupině pacientů s pokročilým nebo metastazujícím karcinomem pankreatu. I když společnost předložila analýzy naznačující přínos u podskupiny pacientů s určitými genetickými změnami souvisejícími s agresivnější chorobou a u podskupiny pacientů s bolestí, studie nebyla navržena tak, aby ukázala přínos u těchto menších skupin, a výbor dospěl k názoru, že k prokázání tohoto přínosu je nutná další studie. Kromě toho byl přípravek Masiviera spojen s významnou toxicitou. Dále se výbor CHMP obával o kvalitu přípravku, zejména o nečistoty, kterým by pacienti mohli být vystaveni, a zda by komerční šarže léčivého přípravku měly stejnou kvalitu jako šarže použité ve studiích.

Během přezkoumání výbor CHMP opět prostudoval údaje od společnosti, včetně návrhu na podmíněnou registraci u omezené skupiny pacientů, a poradil se také se skupinou odborníků na léčbu karcinomu pankreatu. Výbor potvrdil svůj názor, že účinnost přípravku Masiviera u karcinomu pankreatu nebyla dostatečně prokázána. Navíc nebyly ještě vyřešeny některé obavy ohledně kvality léčivého přípravku. Výbor CHMP proto dospěl k závěru, že přínosy přípravku Masiviera nepřevyšují jeho rizika, a zachoval své předchozí doporučení registraci tohoto léčivého přípravku zamítnout.

Jaké jsou důsledky zamítnutí registrace pro pacienty zařazené do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Masiviera podáván v rámci léčby z humánních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use)?

Společnost informovala výbor CHMP, že stažení žádosti nemá žádné důsledky pro pacienty, kteří jsou zařazeni do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Masiviera podáván v rámci léčby z humánních důvodů.

Pokud jste zařazení do klinické studie nebo do programu, v němž je přípravek Masiviera podáván v rámci léčby z humánních důvodů, a potřebujete získat více informací o své léčbě, obraťte se na lékaře, který vám přípravek podává.