



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

Den 23. maj 2014
EMA/298222/2014
EMA/H/C/002659

Spørgsmål og svar

Afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse for Masiviera (masitinib)

Resultat af den fornyede overvejelse

Den 23. januar 2014 vedtog Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP) en negativ udtalelse, der anbefalede afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse for lægemidlet Masiviera til behandling af fremskreden inoperabel bugspytkirtelkræft. Den virksomhed, der ansøgte om tilladelse, er AB Science.

Ansøgeren anmodede om fornyet overvejelse af udtalelsen. CHMP gennemgik begrundelsen for anmodningen og foretog en fornyet overvejelse af den første udtalelse, men bekræftede den 22. maj 2014 afslaget på ansøgningen om markedsføringstilladelse.

Hvad er Masiviera?

Masiviera er et kræftlægemiddel, der indeholder det aktive stof masitinib. Det var hensigten, at det skulle leveres som tabletter.

Hvad forventedes Masiviera anvendt til?

Masiviera skulle have været anvendt til at behandle voksne med kræft i bugspytkirtlen, der er lokalt fremskreden eller har bredt sig til andre dele af kroppen (er metastatisk), ikke kan opereres og giver smerter af mindst moderat styrke. Det skulle have været brugt i kombination med et andet kræftmiddel, gemcitabin.

Masiviera blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 28. oktober 2009 til behandling af bugspytkirtelkræft. Yderligere information er [her](#).

Hvordan forventes Masiviera at virke?

Det aktive stof i Masiviera, masitinib, er en tyrosinkinasehæmmer. Det vil sige, at stoffet blokerer enzymer af typen tyrosinkinaser. Disse enzymer findes i visse receptorer på cellernes overflade, bl.a.



receptorer, der stimulerer kræftceller til at dele sig ukontrolleret. Ved at hæmme disse receptorer skulle Masiviera kunne hæmme celledelingen og dermed bremse kræftens vækst og udbredelse.

Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen?

Virkningerne af Masiviera blev først afprøvet i forsøgsmodeller, inden de blev undersøgt hos mennesker.

Virksomheden fremlagde resultater af én hovedundersøgelse hos 353 patienter med fremskreden metastatisk bugspytkirtelkræft. Masiviera blev sammenlignet med placebo (virkningsløs behandling) som tillægsbehandling til gemcitabin. Behandlingens virkning blev hovedsagelig bedømt på, hvor længe patienterne overlevede med sygdommen. Virksomheden fremlagde desuden forskellige støttende analyser og oplysninger fra en støttende undersøgelse.

Hvori bestod CHMP's vigtigste betænkeligheder, der førte til afslaget?

På tidspunktet for den oprindelige vurdering bemærkede CHMP, at hovedundersøgelsen med Masiviera som helhed ikke viste virkning hos patienter med fremskreden eller metastatisk bugspytkirtelkræft. Virksomheden fremlagde analyser, der tydede på, at lægemidlet var til fordel for en undergruppe af patienter med nogle bestemte ændringer i arvematerialet, der bevirker, at sygdommen er mere aggressiv. Analyserne viste også, at lægemidlet var til fordel for en undergruppe af patienter med smerter. Men denne undersøgelse var ikke tilrettelagt med henblik på at vise fordelene hos disse mindre grupper, og udvalget mente, at dette ville kræve nærmere undersøgelse. Desuden havde Masiviera betydelig giftig virkning. Derudover havde CHMP betænkeligheder dels ved produktets kvalitet, dels ved de urenheder, som patienterne kunne blive udsat for, og dels ved, om det markedsførte lægemiddel ville have samme kvalitet som det, der var anvendt til undersøgelserne.

Under den fornyede overvejelse gennemgik CHMP virksomhedens oplysninger, bl.a. forslag til en betinget godkendelse hos en begrænset gruppe patienter. Udvalget blev desuden rådgivet af en gruppe eksperter i behandling af bugspytkirtelkræft. Udvalget fastholdt sin udtalelse om, at virkningen af Masiviera ved bugspytkirtelkræft ikke var tilfredsstillende påvist. Desuden var der stadig nogle uafklarede problemer om lægemidlets kvalitet. CHMP konkluderede derfor, at fordelene ved Masiviera ikke var større end risiciene, og udvalget fastholdt sin tidligere anbefaling om afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse.

Hvilke konsekvenser har afslaget for patienter, der deltager i kliniske undersøgelser eller i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse?

Virksomheden har til CHMP oplyst, at beslutningen ikke vil få konsekvenser for patienter, der deltager i kliniske undersøgelser eller i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse.

Hvis du deltager i en klinisk undersøgelse eller i et program for anvendelse med særlig udleveringstilladelse og behøver mere information om din behandling, bedes du kontakte den læge, der giver dig behandlingen.