



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

21. března 2014
EMA/167920/2014
EMA/H/C/002670

Otázky a odpovědi

Zamítnutí registrace přípravku Masican (masitinib)

Výsledek přezkoumání

Dne 21. listopadu 2013 Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) přijal záporné stanovisko ve věci registrace léčivého přípravku Masican určeného k léčbě maligního gastrointestinálního stromálního tumoru (GIST) 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, opětovně přezkoumal své původní stanovisko a dne 20. března 2014 potvrdil zamítnutí registrace.

Co je Masican?

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

K čemu měl být přípravek Masican používán?

Přípravek Masican měl být používán k léčbě gastrointestinálního stromálního tumoru (GIST), nádorového onemocnění žaludku a střeva, u dospělých, u nichž nelze nádor odstranit chirurgicky nebo u nichž se nádor rozšířil a zhoršuje i přes léčbu imatinibem, jiným léčivem užívaným k léčbě tohoto nádorového onemocnění.

Přípravek Masican byl dne 21. prosince 2004 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“ pro léčbu maligního nádoru GIST. Další informace naleznete [zde](#).

Jak by měl přípravek Masican působit?

Léčivá látka v přípravku Masican, 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 dělení buněk.

7 Westferry Circus • Canary Wharf • London E14 4HB • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 7418 8400 Facsimile +44 (0)20 7418 8668

E-mail info@ema.europa.eu Website www.ema.europa.eu

An agency of the European Union



Blokováním těchto receptorů by mohl přípravek Masican pomoci kontrolovat dělení buněk a tak zpomalit růst zhoubného nádoru.

Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Žadatel předložil výsledky hlavní studie se 44 pacienty s nádorem GIST, který nebylo možné odstranit chirurgicky nebo který se rozšířil a byl rezistentní na léčbu imatinibem. Studie zahrnovala skupinu pacientů léčených přípravkem Masican a skupinu léčenou sunitinibem, jiným léčivem ze stejné třídy. Jednalo se o „studii fáze II“, explorativní studii, jejímž cílem bylo zjistit, zda léčivý přípravek stojí za další zkoumání. Hlavním měřítkem účinnosti byla doba přežití bez progresse onemocnění (jak dlouho pacienti žili, aniž by došlo ke zhoršení onemocnění).

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

V době počátečního hodnocení byl výbor CHMP znepokojen tím, že studie není určena k porovnání přípravku Masican se sunitinibem a že její výsledky lze jen obtížně interpretovat. I když se zdálo, že skupina pacientů léčených přípravkem Masican žila déle než pacienti léčení sunitinibem, nelze vyloučit možnost, že šlo o náhodné zjištění, protože se jednalo o explorativní studii a chyběly další podpůrné důkazy. Výbor proto dospěl k závěru, že na prokázání přínosu přípravku Masican není k dispozici dostatek údajů.

Výbor CHMP byl rovněž znepokojen tím, že údaje o bezpečnosti byly dostupné pouze u několika pacientů léčených přípravkem Masican v navrhované dávce, což neumožňuje řádně zhodnotit nežádoucí účinky léčivého přípravku. Nakonec se objevily také obavy ohledně kontroly kvality léčivého přípravku během výroby, které vedly k pochybnostem ohledně nečistot, jimž mohou být pacienti vystaveni.

I když bezpečnost léčivého přípravku nevzbuzovala významné obavy, výbor měl během přezkoumání stále závažné pochybnosti o přínosu léčivého přípravku. Navíc stále vyvstávaly problémy související s kontrolou kvality během výroby. Výbor CHMP proto dospěl k závěru, že přínosy přípravku Masican nepřevyšují jeho rizika, a trval na svém předchozím doporučení registraci tohoto léčivého přípravku zamítnout.

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

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