



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

Den 21. marts 2014
EMA/167920/2014
EMA/H/C/002670

Spørgsmål og svar

Afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse for Masican (masitinib)

Resultat af revurdering

Den 21. november 2013 vedtog Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP) en negativ udtalelse og anbefalede afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse for lægemidlet Masican, der var bestemt til behandling af ondartet gastrointestinal stromal tumor (GIST). Den virksomhed, der ansøgte om tilladelse, er AB Science.

Ansøgeren anmodede om en revurdering af udtalelsen. Efter at have gennemgået begrundelsen for anmodningen foretog CHMP en revurdering af den første udtalelse og fastholdt den 20. marts 2014 afslaget på ansøgningen om markedsføringstilladelse.

Hvad er Masican?

Masican er et kræftlægemiddel, der indeholder det aktive stof masitinib. Det skulle have været leveret som tabletter.

Hvad forventedes Masican anvendt til?

Masican forventedes anvendt til behandling af mave-tarm-kræft (gastrointestinal stromal tumor (GIST)) hos voksne, hos hvem kræften ikke kan fjernes ved operation eller har bredt sig og er blevet værre trods behandling med imatinib, der er et andet lægemiddel mod kræft.

Masican blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" til behandling af ondartet GIST den 21. december 2004. Yderligere information findes [her](#).

Hvordan forventes Masican at virke?

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

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



herunder de receptorer, der medvirker til at stimulere cellerne til at dele sig ukontrolleret. Ved at hæmme disse receptorer kan Masican muligvis bidrage til at hæmme celledelingen og dermed bremse kræftens vækst.

Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen?

Ansøgeren fremlagde resultaterne af en hovedundersøgelse hos 44 patienter med GIST, der ikke kunne fjernes ved operation, havde bredt sig eller var blevet modstandsdygtig mod behandling med imatinib. Undersøgelsen omfattede en gruppe patienter, der blev behandlet med Masican, og en gruppe patienter, der blev behandlet med sunitinib, som er et andet lægemiddel i samme klasse. Undersøgelsen var en "fase II-undersøgelse", dvs. en sonderende undersøgelse, der er udformet til at afgøre, hvorvidt et lægemiddel er værd at undersøge yderligere. Behandlingens virkning blev hovedsagelig bedømt på, hvor længe patienterne overlevede uden forværring af sygdommen (progressionsfri overlevelse).

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

På tidspunktet for den første vurdering var der i CHMP betænkelighed ved, at undersøgelsen ikke var udformet med henblik på at sammenligne Masican med sunitinib, og at det var vanskeligt at fortolke resultaterne. Skønt den gruppe patienter, der blev behandlet med Masican, syntes at leve længere end dem, der blev behandlet med sunitinib, kunne det ikke udelukkes, at dette skyldtes en tilfældighed, fordi der var tale om en sonderende undersøgelse, og fordi der manglede anden støttende dokumentation. Udvalget konkluderede derfor, at der ikke var tilstrækkelige data til at fastslå fordelene ved Masican.

I CHMP var der desuden betænkelighed ved, at der kun fandtes sikkerhedsdata for nogle få patienter behandlet med Masican i den ansøgte dosis, så der ikke var mulighed for en egentlig vurdering af lægemidlets bivirkninger. Endelig var der betænkelighed ved kvalitetskontrollen med lægemidlet under fremstillingen, hvilket medførte usikkerhed vedrørende de urenheder, som patienterne ville blive udsat for.

Ved revurderingen havde udvalget stadig store betænkeligheder ved lægemidlets fordele, skønt lægemidlets sikkerhed kun gav anledning til mindre betænkelighed. Dertil kom, at der stadig var udestående problemer vedrørende kvalitetskontrollen under fremstillingen. CHMP besluttede derfor, at fordelene ved Masican ikke opvejede risiciene, og fastholdt sin tidligere anbefaling om at give afslag på ansøgningen om en markedsføringstilladelse.

Hvilke konsekvenser har afslaget 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 har behov for yderligere oplysninger om din behandling, kan du kontakte den læge, der giver dig behandlingen.