



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Kysymyksiä ja vastauksia

---

# Lääkevalmisteiden Masican (masitinibi) myyntilupahakemuksen epääminen

## Uudelleentarkastelun tulos

Lääkevalmistekomitea (CHMP) antoi 21. marraskuuta 2013 kielteisen lausunnon, jossa se suositteli myyntiluvan epäämistä lääkevalmisteelta Masican, joka oli tarkoitettu pahanlaatuisten ruuansulatuskanavan stroomatuumorien (GIST) hoitoon. Myyntilupaa hakenut yhtiö on AB Science.

Hakija pyysi lausunnon uudelleentarkastelua. Tutkittuaan uudelleentarkastelupyynnön perusteet lääkevalmistekomitea tarkasteli alkuperäistä lausuntoa uudelleen ja vahvisti myyntiluvan epäämisen 20. maaliskuuta 2014.

### Mitä Masican on?

Masican on syöpälääke, jonka vaikuttava aine on masitinibi. Sitä oli määrä olla saatavana tabletteina.

### Mihin Masicania oli tarkoitus käyttää?

Masicanilla oli tarkoitus hoitaa mahan ja suolen GIST-kasvaimia aikuisilla, joiden kasvainta ei voida poistaa leikkauksella tai joiden syöpä on levinnyt muualle elimistöön, kun sairaus pahenee, vaikka potilas saa tämän syövän hoitoon tarkoitettua lääkettä nimeltä imatinibi.

Masican määritettiin pahanlaatuisten GIST-kasvaimien hoitoon tarkoitetuksi harvinaislääkkeeksi (harvinaisen sairauden hoitoon tarkoitettu lääke) 21. joulukuuta 2004. Lisätietoja on [tässä](#).

### Miten Masicanin odotettiin vaikuttavan?

Masicanin vaikuttava aine masitinibi on tyrosiinikinaasin estäjä. Se tarkoittaa, että se estää tyrosiinikinaasientsyymien toimintaa. Näitä entsyymejä on tietyissä syöpäsolujen pinnalla olevissa reseptoreissa, kuten reseptoreissa, jotka stimuloivat soluja jakautumaan hallitsemattomasti. Estämällä näitä reseptoreita Masican saattaa hillitä solujen jakautumista ja hidastaa siten syövän kasvua.

---

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](mailto:info@ema.europa.eu) Website [www.ema.europa.eu](http://www.ema.europa.eu)

An agency of the European Union



## **Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?**

Hakija esitti tulokset päätutkimuksesta, johon osallistui 44 GIST-potilasta, joiden kasvainta ei voitu poistaa leikkauksella tai se oli levinnyt ja joiden kasvain oli resistentti imatinibille. Tutkimuksessa oli ryhmä potilaita, jotka saivat Masican-hoitoa, ja ryhmä potilaita, jotka saivat sunitinibia, joka on toinen samaan luokkaan kuuluva lääke. Kyseessä oli vaiheen II tutkimus. Se oli kokeellinen tutkimus, jonka tarkoituksena oli selvittää, kannattaako lääkettä tutkia lisää. Tehon päämittari oli etenemisvapaa elinaika (sen ajan pituus, jonka potilaat elivät ilman sairauden pahenemista).

## **Mitkä olivat lääkevalmistekomitean tärkeimmät epäämiseen johtaneet huolenaiheet?**

Lääkevalmistekomitean huolenaiheena oli alkuperäisen arvioinnin aikana se, että tutkimusta ei ollut suunniteltu Masicanin ja sunitinibin vertailua varten ja tulosten tulkinta oli vaikeaa. Vaikka Masican-hoitoa saaneet potilaat näyttivät elävän pidempään kuin sunitinibia saaneet potilaat, löydöksen sattumanvaraisuutta ei voitu sulkea pois, koska tutkimus oli luonteeltaan kokeellinen ja koska muita tätä tukevia todisteita ei ollut. Siksi lääkevalmistekomitea totesi, että Masicanin hyötyjen osoittamiseen ei ollut riittävästi tietoa.

Lääkevalmistekomitea piti huolestuttavana myös sitä, että turvallisuustietoja oli vain muutamasta potilaasta, jotka olivat saaneet ehdotetun annoksen Masican-hoitoa, joten lääkkeen haittavaikutuksia ei voitu arvioida asianmukaisesti. Lopuksi lääkkeen laadunvalvontaan valmistuksen aikana liittyi huolenaiheita, joten ei ollut selvyyttä siitä, mille epäpuhtauksille potilaat altistuisivat.

Vaikka lääkkeen turvallisuutta ei pidetty kovin huolestuttavana uudelleentarkastelussa, lääkevalmistekomitealla oli yhä suuria huolenaiheita lääkkeen hyödyistä. Lisäksi valmistusenaikaiseen laadunvalvontaan liittyviä ongelmia oli yhä ratkaisematta. Näin ollen lääkevalmistekomitea päätti, että Masicanin hyödyt eivät olleet sen riskejä suuremmat, ja toisti aiemman suosituksensa myyntiluvan epäamisestä.

## **Mitä seurauksia myyntiluvan epäamisestä on klinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin osallistuvilla potilaille?**

Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa tai erityiskäyttöohjelmassa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, ota yhteyttä hoitavaan lääkäriin.