



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

21 marzo 2014
EMA/167920/2014
EMA/H/C/002670

Domande e risposte

Rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio per Masican (masitinib)

Esito del riesame

Il 21 novembre 2013 il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) ha adottato un parere negativo, raccomandando il rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio per il medicinale Masican, destinato al trattamento del tumore stromale del tratto gastrointestinale (GIST) maligno. La ditta che ha presentato la domanda di autorizzazione è AB Science.

Il richiedente ha chiesto un riesame del parere. Dopo avere considerato i motivi della richiesta, il CHMP ha riesaminato il parere iniziale, confermando il rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio il 20 marzo 2014.

Che cos'è Masican?

Masican è un medicinale antitumorale contenente il principio attivo masitinib. Il medicinale avrebbe dovuto essere disponibile sotto forma di compresse.

Per che cosa avrebbe dovuto essere usato Masican?

Masican avrebbe dovuto essere usato nel trattamento del tumore stromale del tratto gastrointestinale (GIST), un tumore che colpisce stomaco e intestino, negli adulti non operabili o nei quali il tumore si è diffuso ad altre parti del corpo e sta progredendo nonostante una terapia con imatinib, un altro medicinale usato nella cura di questa affezione.

Masican è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 21 dicembre 2004 per il trattamento del GIST maligno. Per ulteriori informazioni, vedere [qui](#).



Come avrebbe dovuto agire Masican?

Il principio attivo di Masican, masitinib, è un inibitore della tirosin-chinasi. Esso blocca cioè alcuni enzimi denominati tirosin-chinasi. È possibile trovare tali enzimi in alcuni recettori sulla superficie di cellule cancerogene, compresi i recettori coinvolti nella stimolazione delle cellule a dividersi in maniera incontrollata. Bloccando questi ricettori, Masican potrebbe contribuire a controllare la divisione cellulare e, di conseguenza, a rallentare la crescita del tumore.

Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

Il richiedente ha presentato i risultati di uno studio principale cui hanno partecipato 44 pazienti con GIST non operabile o diffuso ad altre parti del corpo e resistente alla terapia con imatinib. Lo studio è stato condotto su un gruppo di pazienti trattati con Masican e su un gruppo di pazienti trattati con sunitinib, un altro medicinale appartenente alla stessa classe. Lo studio era uno "studio di fase II", ossia uno studio esplorativo progettato per stabilire se fosse opportuno continuare a svolgere ricerche sul medicinale. Il principale indicatore dell'efficacia era la sopravvivenza libera da progressione (ossia il periodo di tempo intercorso prima della comparsa di segni di peggioramento della malattia).

Quali sono stati i principali motivi che hanno portato il CHMP al rifiuto?

Al momento della valutazione iniziale, il CHMP nutriva timori in relazione sia alla natura dello studio, che non era stato progettato per confrontare Masican con sunitinib, sia alla difficoltà di interpretare i risultati. Anche se i pazienti trattati con Masican vivevano apparentemente più a lungo dei pazienti trattati con sunitinib, non si poteva escludere la possibilità che questa differenza fosse dovuta al caso, in ragione della natura esplorativa dello studio e dell'assenza di altre prove a sostegno di questo esito. Pertanto, il comitato ha concluso che non c'erano dati sufficienti per stabilire i benefici di Masican.

Il CHMP osservava inoltre con preoccupazione che i dati sulla sicurezza erano disponibili soltanto per alcuni pazienti trattati con Masican alla dose proposta, il che non consentiva di valutare adeguatamente gli effetti indesiderati del medicinale. Infine, anche i controlli di qualità del medicinale effettuati durante la produzione davano adito a preoccupazioni, con conseguenti incertezze sulle impurità a cui sarebbero stati esposti i pazienti.

Durante il riesame, benché la sicurezza del medicinale fosse meno allarmante, il comitato continuava a nutrire notevoli perplessità in relazione ai benefici del medicinale. Permanevano altresì problemi in merito ai controlli di qualità effettuati durante la produzione. Pertanto, il CHMP ha deciso che i benefici di Masican non sono superiori ai suoi rischi e ha mantenuto invariata la sua precedente raccomandazione di non rilasciare l'autorizzazione all'immissione in commercio per il medicinale.

Quali sono le conseguenze del rifiuto per i pazienti inseriti in studi clinici o in programmi di uso compassionevole?

Le persone inserite in uno studio clinico o in un programma di uso compassionevole che abbiano bisogno di maggiori informazioni sulla terapia sono pregate di consultare il medico che le sta trattando.