



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

21 marca 2014 r.
EMA/167920/2014
EMA/H/C/002670

Pytania i odpowiedzi

Odmowa wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu dla produktu Masican (masytynib)

Wynik ponownej oceny

W dniu 21 listopada 2013 r. Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) przyjął negatywną opinię, w której zalecił odmowę wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu dla produktu leczniczego Masican, przeznaczonego do leczenia złośliwego nowotworu podścieliskowego przewodu pokarmowego (ang. *malignant gastrointestinal stromal tumour*, GIST). Firmą, która wnioskuje o wydanie pozwolenia, jest AB Science.

Wnioskodawca zwrócił się o ponowną ocenę tej opinii. Po rozważeniu podstaw do tego wniosku CHMP przeprowadził ponowną ocenę pierwszej opinii i w dniu 20 marca 2014 r. potwierdził odmowę wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.

Co to jest Masican?

Produkt Masican to lek przeciwnowotworowy zawierający substancję czynną masytynib. Miał on być dostępny w postaci tabletek.

W jakim celu miał być stosowany produkt Masican?

Lek Masican miał być stosowany w leczeniu nowotworu podścieliskowego przewodu pokarmowego (GIST) – raka żołądka i jelit u osób dorosłych, którego nie można usunąć chirurgicznie lub który rozprzestrzenił się do innych części ciała, a stan chorego pogarsza się pomimo leczenia imatynibem, innym lekiem stosowanym w leczeniu tego nowotworu.

W dniu 21 grudnia 2004 r. lek Masican uznano za „lek sierocy” (lek stosowany w rzadkich chorobach) stosowany w leczeniu złośliwych GIST. Więcej informacji znajduje się [tutaj](#).



Jakie jest oczekiwane działanie produktu Masican?

Substancja czynna leku Masican, masytynib, jest inhibitorem kinaz tyrozynowych. Oznacza to, że blokuje ona aktywność pewnych enzymów zwanych kinazami tyrozynowymi. Enzymy te występują w niektórych receptorach znajdujących się na powierzchni komórek nowotworowych, w tym receptorach biorących udział w stymulacji komórek do niekontrolowanych podziałów. Blokując działanie tych receptorów, lek Masican mógłby pomagać w odzyskaniu kontroli nad podziałami komórkowymi i w ten sposób spowalniać wzrost raka.

Jaka dokumentacja została przedstawiona przez firmę na poparcie wniosku?

Wnioskodawca przedstawił wyniki badania głównego z udziałem 44 pacjentów z GIST, którego nie można było usunąć chirurgicznie lub który rozprzestrzenił się do innych części ciała i był oporny na leczenie imatynibem. Badanie objęło grupę pacjentów leczonych produktem Masican i jedną grupę pacjentów leczonych sunitynibem, innym lekiem z tej samej grupy. Było to badanie fazy II, badanie rozpoznawcze mające na celu sprawdzenie, czy warto dalej badać lek. Główną miarą skuteczności leczenia był czas przeżycia bez postępu choroby (okres, w którym pacjenci żyli bez nasilenia się objawów choroby).

Jakie były główne wątpliwości CHMP, które doprowadziły do odmowy?

W czasie wstępnej oceny CHMP był zaniepokojony faktem, że badanie nie zostało opracowane w sposób umożliwiający porównanie leku Masican z sunitynibem i że trudno było zinterpretować jego wyniki. Choć w grupie pacjentów leczonych produktem Masican czas przeżycia wydawał się dłuższy niż w grupie pacjentów leczonych sunitynibem, nie można wykluczyć, że był to wynik przypadkowy z uwagi na rozpoznawczy charakter badania oraz brak innych dowodów potwierdzających tę obserwację. W związku z tym Komitet stwierdził, że brak jest wystarczającej ilości danych do stwierdzenia korzyści ze stosowania leku Masican.

CHMP wyraził również obawę dotyczącą danych o bezpieczeństwie stosowania leku, które były dostępne wyłącznie w odniesieniu do kilku pacjentów leczonych produktem Masican w proponowanej dawce, co uniemożliwiło właściwą ocenę działań niepożądanych leku. Istniały również obawy dotyczące kontroli jakości leku podczas jego produkcji, co doprowadziło do pojawienia się wątpliwości dotyczących zanieczyszczeń, na które byliby narażeni pacjenci.

Podczas ponownej oceny, mimo że w mniejszym stopniu skupiała się ona na bezpieczeństwie stosowania leku, Komitet nadal miał poważne zastrzeżenia dotyczące korzyści z jego stosowania. Dodatkowo istniały wciąż nierozstrzygnięte problemy związane z kontrolą jakości podczas produkcji leku. W związku z tym CHMP stwierdził, że korzyści ze stosowania leku Masican nie przewyższają ryzyka, i utrzymał wcześniejsze zalecenie dotyczące odmowy wydania pozwolenia na dopuszczenie tego leku do obrotu.

Jakie są skutki tej odmowy dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych lub programach „leczenia ostatniej szansy”?

Uczestnicy badań klinicznych lub programów „leczenia ostatniej szansy”, którzy potrzebują więcej informacji na temat przyjmowanego leczenia, powinni skontaktować się z lekarzem prowadzącym leczenie.