



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Frågor och svar

Avslag på ansökan om beviljande av godkännande för försäljning av Masican (masitinib)

Resultat av förnyad prövning

Den 21 november 2013 antog kommittén för humanläkemedel, CHMP, ett negativt yttrande med rekommendationen att avslå ansökan om godkännande för försäljning av läkemedlet Masican, avsett för behandling av malign gastrointestinal stromacellstumör (GIST). Företaget som ansökte om godkännandet är AB Science.

Den sökande begärde förnyad prövning av yttrandet. Efter att ha beaktat skälen till begäran omprövade CHMP det ursprungliga yttrandet och bekräftade den 20 mars 2014 sin rekommendation att avslå ansökan om godkännande för försäljning.

Vad är Masican?

Masican är ett läkemedel mot cancer som innehåller den aktiva substansen masitinib. Det skulle finnas som tabletter.

Vad skulle Masican användas för?

Masican skulle användas för att behandla gastrointestinal stromacellstumör (GIST), en cancer i magen och inälvorna, hos vuxna vars cancer inte kan tas bort kirurgiskt eller som har spridit sig och förvärras trots behandling med imatinib, ett annat läkemedel som används för att behandla denna cancer.

Masican klassificerades den 21 december 2004 som säräkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) avsett att användas vid behandling av malign GIST. För mer information, se [här](#).

Hur var det tänkt att Masican skulle verka?

Den aktiva substansen i Masican, masitinib, är en tyrosinkinashämmare. Det innebär att den blockerar vissa enzym som kallas tyrosinkinaser. Dessa enzym finns i vissa receptorer på cancercellernas yta,



inräknat receptorerna som medverkar till att stimulera cellerna att dela sig okontrollerat. Genom att blockera dessa proteiner skulle Masican kunna hjälpa till att kontrollera celldelningen, så att cancer växer långsammare.

Vad har företaget lämnat till stöd för sin ansökan?

Sökanden lade fram resultaten av huvudstudien på 44 patienter med GIST som inte kunde tas bort kirurgiskt eller som hade spridit sig och var resistent mot behandling med imatinib. I studien ingick en grupp patienter som behandlades med Masican och en grupp som behandlades med sunitinib, ett annat läkemedel i samma klass. Studien var en "fas II-studie", en utforskande studie som utformats för att ta reda på om ett läkemedel bör undersökas vidare. Huvudmålet på effekt var progressionsfri överlevnad (hur länge patienterna levde utan att sjukdomen förvärrades).

Vad var det som främst fick CHMP att rekommendera avslag av ansökan?

Vid tiden för den ursprungliga utvärderingen hyste CHMP farhågor över att studien inte var utformad för att jämföra Masican med sunitinib och att det var svårt att tolka resultaten. Trots att gruppen av patienter som behandlades med Masican verkade leva längre än de som behandlades med sunitinib gick det inte att utesluta att detta kunde vara ett slumpartat fynd då studien var av utforskande slag och andra understödande belegg saknades. Därför drog kommittén slutsatsen att det saknades tillräckliga uppgifter för att fastställa nyttan med Masican.

CHMP hyste även farhågor över att det bara fanns säkerhetsdata för ett fåtal patienter som behandlats med Masican vid den föreslagna dosen och detta medgav inte en ordentlig utvärdering av läkemedlets biverkningar. Slutligen fanns det farhågor över kvalitetskontrollen av läkemedlet under tillverkningen, vilket ledde till osäkerhet över de föroreningar som patienterna skulle utsättas för.

Även om läkemedlets säkerhet var ett mindre problem ifrågasatte kommittén ändå läkemedlets nytta under den förnyade prövningen. Dessutom fanns det fortfarande kvarstående problem kring kvalitetskontrollen under tillverkningen. Därför drog CHMP slutsatsen att nyttan med Masican inte var större än riskerna och kvarhöll sin tidigare rekommendation att avslå ansökan om godkännande för försäljning av läkemedlet.

Vilka följder får avslaget för patienter i kliniska prövningar eller i program för användning av humanitära skäl ("compassionate use")?

Om du deltar i en klinisk prövning eller ett s.k. compassionate use-program och vill få mer information om din behandling kan du kontakta den läkare som ger dig läkemedlet.