



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

23. toukokuuta 2014  
EMA/298222/2014  
EMA/H/C/002659

## Kysymyksiä ja vastauksia

---

# Lääkevalmisteen Masiviera (masitinibi) myyntilupahakemuksen epääminen

## Uudelleentarkastelun tulos

Lääkevalmistekomitea (CHMP) antoi 23. tammikuuta 2014 kielteisen lausunnon, jossa se suositteli myyntiluvan epäämistä lääkevalmisteelta Masiviera, joka oli tarkoitettu edistyneen, ei leikattavissa olevan haimasyövän hoitoon. Myyntilupaa hakenut yhtiö on AB Science.

Hakija pyysi lausunnon uudelleentarkastelua. Tutkittuaan uudelleentarkastelupyynnön perusteet lääkevalmistekomitea tarkasteli alkuperäistä lausuntoa uudelleen ja vahvisti myyntiluvan epäämisen 22. toukokuuta 2014.

### Mitä Masiviera on?

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

### Mihin Masivieraa oli tarkoitus käyttää?

Masivieralla oli tarkoitus hoitaa aikuisia, joilla on paikallisesti levinnyt tai etäpesäkkeinen (levinnyt kehon muihin osiin) haimasyöpä, kun sitä ei voida leikata ja kun siihen liittyy vähintään kohtalaista kipua. Sitä oli tarkoitus käyttää yhdessä toisen syöpälääkkeen, gemsitabiinin, kanssa.

Masitinibi määritettiin haimasyövän hoitoon tarkoitetuksi harvinaislääkkeeksi (harvinaisen sairauden hoitoon tarkoitettu lääke) 28. lokakuuta 2009. Lisätietoja on [tässä](#).

### Miten Masivieran odotettiin vaikuttavan?

Masivieran vaikuttava aine masitinibi on tyrosiinikinaasin estäjä. Se tarkoittaa, että se estää tyrosiinikinaasientsyymien toimintaa. Näitä entsyymejä on joissakin solujen pinnalla olevissa reseptoreissa, kuten niissä reseptoreissa, jotka stimuloivat syöpäsoluja jakautumaan hallitsemattomasti. Estämällä näitä reseptoreita Masiviera saattaa hillitä solujen jakautumista ja hidastaa siten syövän kasvua.



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

Masivieran vaikutuksia on testattu ensin koemalleilla ennen sen tutkimista ihmisillä.

Yhtiö esitti yhtä päätutkimusta koskevat tulokset. Tutkimukseen osallistui 353 potilasta, joilla oli edennyt tai etäpesäkkeinen haimasyöpä. Gemsitabiinihoidon lisänä annettua Masivieraa verrattiin lumelääkkeeseen. Pääasiallisena tehon mittana oli potilaiden elossapysymisen aika. Yhtiö esitti myös erilaisia tukevia analyysejä ja tukevaa tutkimusta koskevia tietoja.

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

Lääkevalmistekomitea totesi alkuperäisessä arvioinnissa, että Masivieraa koskeva päätutkimus ei osoittanut tehoa potilasryhmässä, johon kuului edistynyttä tai etäpesäkkeistä haimasyöpää sairastavia potilaita. Vaikka yhtiön esittämät analyysit viittaavat siihen, että lääkkeestä oli hyötyä alaryhmälle, johon kuuluvilla potilailla oli tiettyjä aggressiivisempaan sairauteen liittyviä geneettisiä muutoksia, ja alaryhmälle, johon kuuluvilla potilailla oli kipuja, tutkimusta ei ollut kuitenkaan suunniteltu osoittamaan hyötyä näissä pienissä ryhmissä. Lääkevalmistekomitea katsoi, että tällaisen hyödyn osoittamisen tueksi tarvitaan lisätutkimus. Lisäksi Masivieraan liittyi merkittävää toksisuutta.

Lääkevalmistekomitealla oli myös valmisteen laatua koskevia huolenaiheita. Ne liittyivät etenkin epäpuhtauksiin, joille potilaat saattavat altistua, ja siihen, onko lääkkeen kaupallisten erien laatu sama kuin tutkimuksessa käytettyjen erien laatu.

Lääkevalmistekomitea tarkasteli uudelleenarvioinnissa yhtiön toimittamia tietoja, mukaan lukien ehdotusta ehdollisesta myyntiluvasta rajoitetulle potilasryhmälle, sekä kuuli asiantuntijaryhmää haimasyövän hoidosta. Lääkevalmistekomitea vahvisti lausuntonsa siitä, että Masivieran tehoa ei ole osoitettu riittävällä tavalla haimasyövän hoidossa. Lisäksi eräät lääkkeen laatuun liittyviä huolenaiheet ovat vielä ratkaisematta. Näin ollen lääkevalmistekomitea katsoi, että Masivieran hyödyt eivät olleet sen riskejä suuremmat, ja toisti aiemman suosituksensa myyntiluvan epäamisestä.

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

Yhtiö ilmoitti lääkevalmistekomitealle, ettei epäamisestä ole mitään seurauksia klinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin osallistuville potilaille.

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