



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

23 mai 2014  
EMA/298222/2014  
EMA/H/C/002659

## Questions et réponses

---

# Refus de l'autorisation de mise sur le marché pour Masiviera (masitinib)

## Résultat du réexamen

Le 23 janvier 2014, le comité des médicaments à usage humain (CHMP) a adopté un avis négatif, recommandant le refus de l'autorisation de mise sur le marché pour le médicament Masiviera, destiné au traitement du cancer du pancréas avancé inopérable. La société ayant demandé l'autorisation de mise sur le marché est AB Science.

Le demandeur a sollicité un réexamen de l'avis. Après avoir examiné les motifs de cette demande, le CHMP a réexaminé l'avis initial, et a confirmé le refus de l'autorisation de mise sur le marché le 22 mai 2014.

### Qu'est-ce que Masiviera?

Masiviera est un médicament anticancéreux qui contient le principe actif masitinib. Il devait se présenter sous la forme de comprimés.

### Dans quel cas Masiviera devait-il être utilisé?

Masiviera devait être utilisé pour traiter les adultes atteints d'un cancer du pancréas (un organe du système digestif) qui est localement avancé ou métastatique (qui s'est étendu à d'autres parties du corps), non résecable (qui ne relève pas d'un traitement chirurgical) et accompagné d'une douleur au moins modérée. Il devait être utilisé en association avec un autre médicament, la gemcitabine.

Masitinib a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 28 octobre 2009 pour le traitement du cancer du pancréas. Pour plus d'informations, voir [ici](#).

### Comment Masiviera doit-il agir?

Le principe actif de Masiviera, le masitinib, est un inhibiteur de la tyrosine kinase. Cela signifie qu'il bloque certaines enzymes connues sous le nom de tyrosines kinases. Ces enzymes sont présentes



dans certains récepteurs à la surface des cellules, y compris les récepteurs qui incitent les cellules cancéreuses à se diviser de manière incontrôlée. En bloquant ces récepteurs, Masiviera pourrait contribuer à contrôler la division cellulaire et de ce fait ralentir la croissance du cancer.

### **Quelle a été la documentation présentée par la société pour justifier sa demande?**

Les effets de Masiviera ont d'abord été testés chez des modèles expérimentaux avant d'être étudiés chez l'homme.

La société a présenté les résultats d'une étude principale portant sur 353 patients atteints d'un cancer du pancréas avancé ou métastatique. Masiviera a été comparé à un placebo (traitement fictif) en complément d'un traitement par la gemcitabine. Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était la durée de survie des patients atteint de cette maladie. La société a également présenté diverses analyses et informations à l'appui provenant d'une étude justificative.

### **Quelles ont été les principales réserves du CHMP ayant conduit au refus?**

Au moment de l'évaluation initiale, le CHMP a noté que les résultats de l'étude principale sur Masiviera n'avait montré aucune efficacité chez l'ensemble des patients atteints d'un cancer du pancréas avancé ou métastatique. Bien que la société ait présenté des analyses suggérant qu'un bénéfice était observé dans un sous-groupe de patients présentant certaines modifications génétiques associées à une maladie plus agressive et dans un sous-groupe de patients présentant une douleur, l'étude n'était pas conçue pour déterminer un bénéfice dans ces groupes plus restreints, et le comité a estimé qu'une étude supplémentaire serait nécessaire pour démontrer un tel bénéfice. De plus, Masiviera était associé à une toxicité importante. Par ailleurs, le CHMP a exprimé des inquiétudes quant à la qualité du produit, en particulier en ce qui concerne les impuretés auxquelles les patients pourraient être exposés et la question de savoir si des lots commerciaux du médicament auraient la même qualité que ceux utilisés pour les études.

Au cours du réexamen, le CHMP a à nouveau étudié les données fournies par la société, y compris une proposition d'autorisation conditionnelle dans un groupe restreint de patients, et a en outre consulté un groupe d'experts en traitement du cancer du pancréas. Le comité a confirmé son avis selon lequel l'efficacité de Masiviera n'a pas été suffisamment démontrée dans le cas du cancer du pancréas. De plus, certaines inquiétudes quant à la qualité du médicament n'étaient pas encore résolues. Par conséquent, le CHMP a estimé que les bénéfices de Masiviera n'étaient pas supérieurs à ses risques et a maintenu sa précédente recommandation de refuser l'autorisation de mise sur le marché du médicament.

### **Quelles sont les conséquences du refus pour les patients participant aux essais cliniques ou bénéficiant de programmes d'utilisation compassionnelle?**

La société a informé le CHMP qu'il n'y avait aucune conséquence pour les patients participant aux essais cliniques ou bénéficiant de programmes d'utilisation compassionnelle.

Si vous participez à un essai clinique ou à un programme d'utilisation compassionnelle et si vous souhaitez obtenir des informations complémentaires sur votre traitement, contactez le médecin qui vous a prescrit le traitement.