



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Kérdések és válaszok

---

# A Masiviera-ra (maszitinib) vonatkozó forgalomba hozatali engedély elutasítása

## A felülvizsgálat eredménye

2014. január 23-án az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP) negatív véleményt fogadott el, amelyben az előrehaladott, inoperábilis hasnyálmirigyrákban szenvedő betegek kezelésére szánt Masiviera gyógyszerre vonatkozó forgalomba hozatali engedély elutasítását javasolta. Az engedélyt kérelmező vállalat az AB Science volt.

A kérelmező a vélemény felülvizsgálatát kérte. E kérelem indoklásának vizsgálatát követően a CHMP felülvizsgálta eredeti véleményét, és 2014. május 22-én megerősítette a forgalomba hozatali engedély elutasítását.

### Milyen típusú gyógyszer a Masiviera?

A Masiviera egy rákellenes gyógyszer, amely hatóanyagként maszitinibet tartalmaz. Tabletta formájában tervezték forgalmazni.

### Milyen alkalmazásra szánták a Masiviera-t?

A Masiviera-t a hasnyálmirigy (az emésztőrendszer egyik szerve) rákos megbetegedésében szenvedő felnőttek kezelésére szánták olyan esetben, amikor a daganat helyileg előrehaladott vagy metasztatikus (a szervezet más részeire terjedt át), nem rezekálható (nem alkalmas műtétre), és legalább mérsékelt fájdalommal társul. Egy másik rákellenes gyógyszerrel, gemcitabinnel kombinálva tervezték alkalmazni.

A Masiviera 2009. október 28-án a hasnyálmirigytek tekintetében „ritka betegségek gyógyszere” (ritka betegségekben használatos gyógyszer) minősítést kapott. További információk [itt](#) találhatóak.

### Milyen hatásmechanizmust várnak a Masiviera-tól?

A Masiviera hatóanyaga, a maszitinib egy tirozin-kináz inhibitor. Ez azt jelenti, hogy gátolja az úgynevezett tirozin-kináz enzimeket. Ezek az enzimek a sejtek felszínén elhelyezkedő egyes



receptorokban található. Ide tartoznak azok a receptorok, amelyek a daganatsejtek kontrollálatlan osztódásának stimulálásában vesznek részt. E receptorok gátlása révén a Masiviera elősegítheti a sejtosztódás kontrollálását, és ezáltal lelassíthatja a rák terjeszkedését.

## **Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?**

A Masiviera hatásait először kísérleti modelleken tesztelték, mielőtt embereken kipróbálták volna.

A vállalat egy fő vizsgálat eredményeit mutatta be, amelyben 353, előrehaladott vagy metasztatikus hasnyálmirigyrákban szenvedő beteg vett részt. A Masiviera-t placebóval (hatóanyag nélküli kezeléssel) hasonlították össze gemcitabin kezelés kiegészítéseként. A fő hatékonysági mutató a betegek túlélési ideje volt a betegség mellett. A vállalat egy alátámasztó vizsgálatból származó, különböző alátámasztó elemzéseket és információkat is benyújtott.

## **Melyek voltak a CHMP főbb aggályai, amelyek az elutasításhoz vezettek?**

A kezdeti értékelés idején a CHMP megállapította, hogy a Masiviera-val végzett fő vizsgálat eredményei nem igazolták a hatékonyságot az előrehaladott vagy metasztatikus hasnyálmirigyrákban szenvedő betegek teljes csoportjában. Bár a vállalat benyújtott olyan elemzéseket, amelyek arra utaltak, hogy agresszívebb betegséggel társuló, bizonyos genetikai változásokat mutató betegek alcsoportjában, valamint a fájdalomról panaszkodó betegek alcsoportjában előnyös hatás mutatkozik, a vizsgálatot nem úgy alakították ki, hogy igazolja az előnyös hatást ezeknél a kisebb csoportoknál, és a bizottság úgy vélte, hogy további vizsgálatra lenne szükség egy ilyen előnyös hatás igazolásához. A Masiviera továbbá jelentős toxicitással társult. Ezenfelül a CHMP-nek aggályai merültek fel a készítmény minőségét illetően, különösen a szennyezőanyagok kapcsán, amelyek hatásának a betegek potenciálisan ki lehetnének téve, illetve annak vonatkozásában, hogy a gyógyszer kereskedelmi gyártási tételei ugyanolyan minőségűek lennének-e, mint azok, amelyeket a vizsgálatokhoz használtak.

A felülvizsgálat során a CHMP ismételten megvizsgálta a vállalattól származó adatokat, beleértve a feltételes jóváhagyás javaslatát a betegek egy korlátozott csoportjánál, és egy, a hasnyálmirigyrák kezelésében jártas szakértői csoporttal is konzultált. A bizottság megerősítette véleményét, miszerint a Masiviera hatékonyságát hasnyálmirigyrák esetén nem igazolták kellően. Továbbá a gyógyszer minőségével kapcsolatos egyes aggályokat még nem oldották fel. Ezért a CHMP arra a következtetésre jutott, hogy a Masiviera előnyei nem haladják meg a kockázatokat, és fenntartotta korábbi ajánlását, miszerint a gyógyszer forgalomba hozatali engedélyének kiadását el kell utasítani.

## **Milyen következményekkel jár az elutasítás azokra a betegekre nézve, akik klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti alkalmazási programban vesznek részt?**

A vállalat tájékoztatta a CHMP-t, hogy nincs következmény a klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti alkalmazási programban részt vevő betegekre nézve.

Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vagy engedélyezés előtti alkalmazási programban vesz részt, és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával!