



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Domande e risposte

Rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio per Masiviera (masitinib)

Esito del riesame

Il 23 gennaio 2014 il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) ha adottato un parere negativo, raccomandando il rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio per il medicinale Masiviera, destinato al trattamento del cancro del pancreas avanzato inoperabile. La ditta che ha presentato la domanda di autorizzazione è AB Science.

Il richiedente ha richiesto un riesame del parere. Dopo aver considerato i motivi di tale richiesta, il CHMP ha riesaminato il parere iniziale e ha confermato il rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio in data 22 maggio 2014.

Che cos'è Masiviera?

Masiviera è un medicinale antitumorale che contiene il principio attivo masitinib. Avrebbe dovuto essere disponibile in forma di compresse.

Per che cosa avrebbe dovuto essere usato Masiviera?

Masiviera era destinato a essere usato per il trattamento degli adulti con cancro del pancreas (un organo dell'apparato digerente) localmente avanzato o metastatico (che si è diffuso ad altre parti del corpo), non resecabile (non idoneo all'intervento chirurgico) e accompagnato da un dolore almeno moderato. Avrebbe dovuto essere usato in associazione a gemcitabina, un altro medicinale antitumorale.

In data 28 ottobre 2009 masitinib è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) per il trattamento del cancro del pancreas. Per ulteriori informazioni, vedere [qui](#).

Come avrebbe dovuto agire Masiviera?

Il principio attivo contenuto in Masiviera, masitinib, è un inibitore delle tirosin-chinasi. Ciò significa che blocca alcuni enzimi noti come tirosin-chinasi. Questi enzimi possono trovarsi in alcuni recettori sulla



superficie delle cellule, inclusi i recettori coinvolti nella stimolazione delle cellule del tumore alla divisione incontrollata. Bloccando questi recettori, Masiviera potrebbe aiutare a controllare la divisione delle cellule e rallentare così la crescita del tumore.

Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

Prima di essere studiati nell'uomo, gli effetti di Masiviera sono stati testati in modelli sperimentali.

La ditta ha presentato i risultati di uno studio principale, che ha coinvolto 353 pazienti con cancro del pancreas avanzato o metastatico. Masiviera è stato confrontato con placebo (un trattamento fittizio) come aggiunta al trattamento con gemcitabina. La misura principale di efficacia era la durata di sopravvivenza dei pazienti con la loro malattia. La ditta ha presentato inoltre varie analisi di sostegno e informazioni tratte da uno studio di supporto.

Quali sono stati i principali motivi che hanno portato il CHMP a raccomandare il rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio?

Al momento della valutazione iniziale, il CHMP ha osservato che i risultati dello studio principale condotto con Masiviera non dimostravano un'efficacia nel gruppo generale di pazienti con cancro del pancreas avanzato o metastatico. Anche se la ditta ha presentato analisi che suggerivano l'esistenza di un beneficio in un sottogruppo di pazienti con alcune modificazioni genetiche associate a malattia più aggressiva, e in un sottogruppo di pazienti con dolore, lo studio non era stato concepito per dimostrare un beneficio in questi gruppi di più piccole dimensioni, e il comitato ha ritenuto che fosse necessario un ulteriore studio per dimostrare tale beneficio. Inoltre, Masiviera era associato a una tossicità significativa. Il CHMP aveva inoltre timori in merito alla qualità del prodotto, in particolare riguardo alle impurezze a cui i pazienti potrebbero essere esposti e al fatto che i lotti commerciali del medicinale abbiano effettivamente la stessa qualità di quelli utilizzati per gli studi.

Durante il riesame, il CHMP ha analizzato nuovamente i dati presentati dalla ditta, inclusa la proposta di un'autorizzazione condizionata in un gruppo ristretto di pazienti, e ha consultato inoltre un gruppo di esperti nel trattamento del cancro del pancreas. Il comitato ha confermato il suo parere, secondo cui l'efficacia di Masiviera non era stata sufficientemente dimostrata nel cancro del pancreas. Inoltre, alcuni timori riguardo alla qualità del medicinale non erano stati ancora risolti. Il CHMP ha perciò concluso che i benefici di Masiviera non erano superiori ai rischi e ha ribadito la precedente raccomandazione di rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio per il medicinale.

Quali sono le conseguenze di questo rifiuto per i pazienti inseriti in studi clinici o in programmi di uso compassionevole?

La ditta ha informato il CHMP che non vi sono state conseguenze per i pazienti in studi clinici o programmi di uso compassionevole.

Le persone inserite in uno studio clinico o in un programma di uso compassionevole che abbiano bisogno di maggiori informazioni sul loro trattamento possono consultare il medico curante.