



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2017 m. rugsėjo 15 d.
EMA/599464/2017
EMA/H/C/004159

Klausimai ir atsakymai

Atsisakymas suteikti Masipro (mazitinibo) registracijos pažymėjimą

Pakartotinio nuomonės nagrinėjimo procedūros rezultatai

2017 m. gegužės 18 d. Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) priėmė neigiamą nuomonę, kurioje rekomenduoja nesuteikti vaistinio preparato Masipro, skirto sisteminės mastocitozės gydymui, registracijos pažymėjimo. Paraišką gauti registracijos pažymėjimą pateikė bendrovė „AB Science“.

Bendrovė pateikė prašymą pakartotinai išnagrinėti priimtą nuomonę. Apsvarstęs priežastis, kuriomis pagrįstas šis prašymas, CHMP pakartotinai apsvairstė priimtą nuomonę ir 2017 m. rugsėjo 14 d. patvirtino savo rekomendaciją nesuteikti registracijos pažymėjimo.

Kas yra Masipro?

Masipro – tai vaistas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos mazitinibo. Šį vaistą buvo numatyta tiekti tablečių forma.

Kokiais atvejais buvo numatyta vartoti Masipro?

Masipro buvo numatyta gydyti suaugusiuosius, sergančius sistetine mastocitoze – liga, kuria sergant odoje, kauluose ir įvairiuose organuose susitelkia pernelyg daug putliųjų ląstelių (tam tikros rūšies baltųjų kraujo kūnelių), kurios sukelia tokius simptomus, kaip odos niežėjimas, karščio bangos, palpitacijos, alpuls, kaulų skausmas, nuovargis, vėmimas, pykinimas ir depresija.

Pagal mastocitozės gydymo indikaciją Masipro 2004 m. lapkričio 16 d. buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie vaistų priskyrimą retųjų vaistų kategorijai rasite [čia](#).



Kaip veikia Masipro?

Veiklioji Masipro medžiaga mazitinibas yra tirozino kinazės inhibitorius. Tai reiškia, kad jis slopina fermentus, vadinamus tirozino kinazėmis, kurių yra kai kuriuose putliųjų ląstelių receptoriuose, įskaitant tuos fermentus, kurie skatina ląstelių augimą ir dalijimąsi. Manoma, kad slopindamas šiuos fermentus, Masipro padeda sulėtinti putliųjų ląstelių augimą.

Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Pareiškėjas pateikė duomenis, surinktus atlikus pagrindinį tyrimą, kuriame dalyvavo 135 sisteminė mastocitoze sergantys pacientai, kuriems pasireiškė sunkūs šios ligos simptomai, įskaitant vieną iš šių keturių – niežėjimas, karščio bangos, depresija ir nuovargis. Atliekant šį tyrimą, Masipro buvo lyginamas su placebo (netikru vaistu). Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo pagrįstas kurio nors iš šių keturių simptomų palengvėjimu per pirmas 24 gydymo savaites.

Kokios buvo pagrindinės CHMP abejonės, dėl kurių atsisakyta suteikti registracijos pažymėjimą?

CHMP iškilo abejonų dėl tyrimo rezultatų patikimumo, nes atlikus įprastinį atitikties gerosios klinikinės praktikos reikalavimams patikrinimą įstaigose, kuriose buvo atliekamas šis tyrimas, nustatyta rimtų pažeidimų, susijusių su tuo, kaip tyrimas buvo atliekamas. Be to, tuo metu, kai buvo atliekamas tyrimas, buvo padaryta esminių tyrimo modelio pakeitimų, dėl kurių šio tyrimo rezultatus buvo sunku įvertinti. Galiausiai, duomenų apie vaisto saugumą buvo nedaug ir iškilo abejonų dėl vaisto sukeltų šalutinių reiškinių, įskaitant neutropeniją (sumažėjusį baltųjų kraujo kūnelių kiekį) ir žalingą poveikį odai ir kepenims, kurie buvo svarbūs dėl to, kad šį vaistą buvo numatyta vartoti ilgą laiką.

Dėl šių priežasčių CHMP laikėsi nuomonės, kad Masipro nauda nėra didesnė už jo keliamą riziką, ir rekomendavo nesuteikti šio vaistinio preparato registracijos pažymėjimo.

Pakartotinai išnagrinėjęs priimtą nuomonę, CHMP patvirtino savo rekomendaciją nesuteikti registracijos pažymėjimo.

Kokių pasekmių šis atsisakymas turės pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose?

Bendrovė pranešė CHMP, kad paraiškos atsiėmimas neturės jokių pasekmių pacientams, šiuo metu dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose.

Jeigu dalyvaujate klinikiname tyrime arba labdaringo vartojimo programoje ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie Jums taikomą gydymą, kreipkitės į Jus gydantį gydytoją.