

15 września 2017 r.
EMA/599464/2017
EMA/H/C/004159

Pytania i odpowiedzi

Odmowa wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu dla produktu Masipro (masytynib)

Wynik ponownej oceny

W dniu 18 maja 2017 r. Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) wydał negatywną opinię, zalecając odmowę przyznania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu produktu leczniczego Masipro przeznaczonego do stosowania w leczeniu mastocytozy układowej. Firmą ubiegającą się o dopuszczenie do obrotu jest AB Science.

Firma zwróciła się o ponowne rozpatrzenie wstępnej opinii. Po rozważeniu podstaw tego wniosku CHMP ponownie rozpatrzył opinię i w dniu 14 września 2017 r. potwierdził odmowę przyznania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.

Czym jest Masipro?

Masipro to lek zawierający substancję czynną masytynib. Miał być dostępny w postaci tabletek.

W jakim celu miał być stosowany produkt Masipro?

Produkt Masipro miał być stosowany w leczeniu osób dorosłych z mastocytozą układową, chorobą charakteryzującą się nadmiarem komórek tucznych (rodzaju krwinek białych) w skórze, kościach i różnych narządach organizmu. Powoduje ona objawy takie jak swędzenie skóry, uderzenia gorąca, kołatanie serca, omdlenia, ból kości, zmęczenie, wymioty, biegunka i depresja.

W dniu 16 listopada 2004 r. lek Masipro uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w leczeniu mastocytozy. Więcej informacji na temat uznania za lek sierocy można znaleźć [tutaj](#).

Jak działa produkt Masipro?

Substancja czynna produktu Masipro, masytynib, jest inhibitorem kinaz tyrozynowych. Oznacza to, że blokuje ona aktywność pewnych enzymów zwanych kinazami tyrozynowymi. Enzymy te występują w niektórych receptorach komórek tucznych, w tym w receptorach biorących udział w stymulacji wzrostu

i podziału komórek. Blokując działanie tych enzymów, lek Masipro mógłby pomagać w spowolnieniu wzrostu komórek tucznych.

Jaka dokumentacja została przedstawiona przez firmę na poparcie wniosku?

Wnioskodawca przedstawił dane z badania głównego z udziałem 135 pacjentów z mastocytozą układową, u których występowały ciężkie objawy, obejmujące co najmniej jeden z następujących czterech objawów: świąd, uderzenia gorąca, depresja i zmęczenie. W badaniu lek Masipro porównywano z placebo (leczenie pozorowane). Główne kryterium oceny skuteczności oparte było na poprawie któregośkolwiek z tych czterech objawów w ciągu pierwszych 24 tygodni leczenia.

Jakie były główne wątpliwości CHMP, które doprowadziły do odmowy?

CHMP miał wątpliwości co do rzetelności wyników badania, ponieważ rutynowa kontrola GCP (dobrej praktyki klinicznej) w ośrodkach badawczych ujawniła poważne uchybienia w sposobie prowadzenia badania. Dodatkowo wprowadzono istotne zmiany w projekcie badania w trakcie jego trwania, co utrudnia interpretację wyników. W końcu ograniczone są dane na temat bezpieczeństwa stosowania leku i istniały wątpliwości co do działań niepożądanych leku, w tym neutropenii (mała liczba krwinek białych) i szkodliwego wpływu na skórę i wątrobę, które są istotne głównie ze względu na to, że lek miał być stosowany długotrwale.

W związku z tym CHMP wyraził opinię, że korzyści ze stosowania leku Masipro nie przewyższają ryzyka, i zalecił odmowę wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.

Odmowa CHMP została potwierdzona po ponownym rozpatrzeniu.

Jakie są skutki tej odmowy dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych lub programach „leczenia ostatniej szansy”?

Firma powiadomiła CHMP, że nie ma żadnych skutków dla pacjentów biorących udział w badaniach klinicznych ani programach „leczenia ostatniej szansy”.

W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych lub programie „leczenia ostatniej szansy” i potrzeby uzyskania dokładniejszych informacji o leczeniu należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym.