



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

23 maja 2014 r.
EMA/298222/2014
EMA/H/C/002659

Pytania i odpowiedzi

Odmowa wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu produktu Masiviera (masytynib)

Wynik ponownej oceny

W dniu 23 stycznia 2014 r. Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) przyjął negatywną opinię, w której zalecił odmowę wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu dla produktu leczniczego Masiviera, przeznaczonego do leczenia zaawansowanego, nieoperacyjnego raka trzustki. Firmą, która wnioskuje o wydanie pozwolenia, jest AB Science.

Wnioskodawca zwrócił się o ponowną ocenę tej opinii. Po rozważeniu podstaw do tego wniosku CHMP przeprowadził ponowną ocenę pierwszej opinii i w dniu 22 maja 2014 r. potwierdził odmowę wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.

Co to jest produkt Masiviera?

Produkt Masiviera to lek przeciwnowotworowy zawierający substancję czynną masytynib. Miał on być dostępny w postaci tabletek.

W jakim celu miał być stosowany produkt Masiviera?

Produkt Masiviera miał być stosowany w leczeniu dorosłych pacjentów z rakiem trzustki (narząd należący do układu pokarmowego), który jest zaawansowany lokalnie lub przerzutowy (rozprzestrzenił się do innych części ciała), nieresekcyjny (nieodpowiedni do leczenia chirurgicznego) i któremu towarzyszy przynajmniej umiarkowany ból. Miał być stosowany w skojarzeniu z innym lekiem przeciwnowotworowym, gemcytabiną.

W dniu 28 października 2009 r. masytynib uznano za „lek sierocy” (lek stosowany w rzadkich chorobach) stosowany w leczeniu raka trzustki. Więcej informacji znajduje się [tutaj](#).

Jakie jest oczekiwane działanie produktu Masiviera?

Substancja czynna leku Masiviera, masytynib, jest inhibitorem kinazy tyrozynowej. Oznacza to, że blokuje ona aktywność pewnych enzymów zwanych kinazami tyrozynowymi. Enzymy te występują w



niektórych receptorach znajdujących się na powierzchni komórek, w tym receptorach biorących udział w stymulacji komórek nowotworowych do niekontrolowanych podziałów. Poprzez blokowanie tych enzymów lek Masiviera może kontrolować podział komórek i tym samym spowalniać wzrost raka.

Jaka dokumentacja została przedstawiona przez firmę na poparcie wniosku?

Zanim przeprowadzono badania na ludziach działanie produktu Masiviera badano w modelach eksperymentalnych.

Firma przedstawiła wyniki jednego badania głównego z udziałem 353 pacjentów z zaawansowanym lub przerzutowym rakiem trzustki. Lek Masiviera porównywano z placebo (leczeniem pozorowanym) jako dodatek do leczenia gemcytabiną. Główną miarą skuteczności leczenia był czas przeżycia pacjentów. Firma zaprezentowała również różne analizy uzupełniające i informacje z badania uzupełniającego.

Jakie były główne wątpliwości CHMP, które doprowadziły do odmowy?

Podczas wstępnej oceny CHMP stwierdził, że wyniki głównego badania leku Masiviera nie wykazały skuteczności w ogólnej grupie pacjentów z zaawansowanym lub przerzutowym rakiem trzustki. Wprawdzie firma przedstawiła wyniki analiz sugerujące, że leczenie przyniosło korzyści w podgrupie pacjentów z określonymi zmianami genetycznymi, związanymi z większą agresywnością choroby, i w podgrupie pacjentów z dolegliwościami bólowymi, jednak projekt badania nie umożliwił wykazania korzyści w tych mniejszych podgrupach i Komitet uznał, że do wykazania takiej korzyści konieczne są dalsze badania. Ponadto lek Masiviera jest związany ze znaczącą toksycznością. Ponadto CHMP wyraził zaniepokojenie jakością produktu, zwłaszcza zanieczyszczeniami, na które mogą być narażeni pacjenci, oraz tym, czy partie komercyjne leku będą miały taką samą jakość, jak partie zastosowane w badaniach.

W trakcie procedury ponownej oceny CHMP ponownie przeanalizował dane przedstawione przez firmę, w tym propozycję wydania pozwolenia w trybie warunkowego dopuszczenia do obrotu w celu stosowania u ograniczonej grupy pacjentów. Konsultował się też z ekspertami w leczeniu raka trzustki. Komitet podtrzymał opinię, że skuteczność leku Masiviera w leczeniu raka trzustki nie została dostatecznie wykazana. Ponadto niektóre wątpliwości dotyczące jakości leku nie zostały jeszcze rozwiązane. W związku z tym CHMP stwierdził, że korzyści ze stosowania leku Masiviera nie przewyższają ryzyka, i utrzymał on swoje poprzednie zalecenie dotyczące odmowy wydania pozwolenia na dopuszczenie tego leku do obrotu.

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

Firma poinformowała CHMP, że nie było żadnych konsekwencji dla pacjentów biorących udział w badaniach klinicznych lub programach „leczenia ostatniej szansy”.

Uczestnicy badań klinicznych lub programów „leczenia ostatniej szansy”, którzy potrzebują więcej informacji na temat przyjmowanego leczenia, powinni skontaktować się z lekarzem prowadzącym leczenie.