

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

Otázky a odpovede

Zamietnutie povolenia na uvedenie na trh pre liek Masiviera (masitinib)

Výsledok opätovného preskúmania

Dňa 23. januára 2014 prijal Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) negatívne stanovisko odporúčajúce zamietnutie povolenia na uvedenie na trh pre liek Masiviera určený na liečbu pokročilého neoperovateľného karcinómu pankreasu. Spoločnosť, ktorá požiadala o povolenie, je AB Science.

Žiadateľ požiadal o opätovné preskúmanie stanoviska. Po zvážení podkladov k tejto žiadosti výbor CHMP opätovne preskúmal pôvodné stanovisko a 22. mája 2014 potvrdil zamietnutie povolenia na uvedenie na trh.

Čo je liek Masiviera?

Masiviera je protirakovinový liek, ktorý obsahuje účinnú látku masitinib. Liek mal byť dostupný vo forme tabliet.

Aké bolo predpokladané použitie lieku Masiviera?

Liek Masiviera sa mal používať na liečbu dospelých s karcinómom pankreasu (orgánu tráviaceho systému), ktorý je lokálne pokročilý alebo metastatický (rozšíril sa do ďalších častí tela), neresekovateľný (nevhodný na operáciu) a je sprevádzaný aspoň stredne závažnou bolesťou. Liek sa mal používať v kombinácii s ďalším protirakovinovým liekom gemcitabínom.

Liek Masiviera bol 28. októbra 2009 označený ako liek na ojedinelé ochorenia (liek, ktorý sa používa pri zriedkavých chorobách) na liečbu rakoviny pankreasu. Ďalšie informácie sú uvedené [tu](#).

Akým spôsobom by mal liek Masiviera účinkovať?

Účinná látka lieku Masiviera, masitinib, je inhibítor tyrozínkináz. To znamená, že blokuje niektoré enzýmy známe ako tyrozínkinázy. Tieto enzýmy sa môžu nachádzať v niektorých receptoroch na povrchu buniek vrátane receptorov, ktoré sa podieľajú na stimulácii nekontrolovaného delenia

rakovinových buniek. Zablokovaním týchto receptorov by liek Masiviera mohol pomôcť pri kontrole bunkového delenia, a tak spomaliť rast rakoviny.

Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Účinok lieku Masiviera sa najprv skúmal na pokusných modeloch, a potom na ľuďoch.

Spoločnosť predložila výsledky jednej hlavnej štúdie, ktorej sa zúčastnilo 353 pacientov s pokročilým alebo metastatickým karcinómom pankreasu. Liek Masiviera sa porovnával s placebom (zdanlivým liekom) ako doplnujúca liečba k liečbe gemcitabínom. Hlavným meradlom účinnosti bol čas prežitia pacientov bez ochorenia. Spoločnosť predložila tiež rôzne podporné analýzy a informácie z podpornej štúdie.

Aké hlavné výhrady viedli výbor CHMP k odporúčaniam zamietnuť povolenie na uvedenie na trh?

V čase pôvodného hodnotenia výbor CHMP poznamenal, že výsledky hlavnej štúdie skúmajúcej liek Masiviera nepreukázali účinnosť v celkovej skupine pacientov s pokročilým alebo metastatickým karcinómom pankreasu. Aj keď spoločnosť predložila analýzy, z ktorých vyplýva, že liek bol prínosom pre podskupinu pacientov s určitými genetickými zmenami súvisiacimi s agresívnejším ochorením a v podskupine pacientov s bolesťou, cieľom štúdie nebolo preukázať prínos v týchto menších skupinách a výbor usúdil, že na preukázanie takéhoto prínosu je potrebná ďalšia štúdia. Liek Masiviera bol okrem toho spojený s významnou toxicitou. Výbor CHMP mal tiež výhrady v súvislosti s kvalitou lieku, najmä pokiaľ ide o nečistoty, ktorým by pacienti mohli byť vystavení, a v súvislosti s tým, či komerčné šarže lieku budú mať rovnakú kvalitu ako šarže použité v štúdiách.

Počas opätovného preskúmania výbor CHMP znova preskúmal údaje od spoločnosti vrátane návrhu na povolenie s podmienkou v obmedzenej skupine pacientov a konzultoval tiež so skupinou odborníkov na liečbu rakoviny pankreasu. Výbor potvrdil svoje stanovisko, že účinnosť lieku Masiviera pri karcinóme pankreasu sa dostatočne nepreukázala. Ostali tiež nevyriešené niektoré výhrady týkajúce sa kvality lieku. Výbor CHMP preto dospel k záveru, že prínosy lieku Masiviera neprevyšujú riziká spojené s jeho používaním a výbor trvá na svojom predchádzajúcom odporúčaní, že povolenie na uvedenie na trh má byť zamietnuté.

Aké sú dôsledky zamietnutia pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúškach lieku alebo na programoch na použitie lieku v naliehavých prípadoch?

Spoločnosť informovala výbor CHMP, že pre pacientov, ktorí sa v súčasnosti zúčastňujú na klinických skúškach alebo na programoch na použitie lieku v naliehavých prípadoch nevyplývajú žiadne dôsledky.

Ak ste účastníkom klinického skúšania alebo programu na použitie lieku v naliehavých prípadoch a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.