

15. september 2017
EMA/599464/2017
EMA/H/C/004159

Vprašanja in odgovori

Zavrnitev vloge za dovoljenje za promet z zdravilom Masipro (masitinib)

Izid ponovnega pregleda

Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) je v svojem negativnem mnenju z dne 18. maja 2017 priporočil zavrnitev vloge za dovoljenje za promet z zdravilom Masipro, namenjenim zdravljenju sistemske mastocitoze. Vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom je predložila družba AB Science.

Družba je zahtevala ponovno preučitev prvotnega mnenja. Po proučitvi razlogov za to zahtevo je odbor CHMP ponovno pregledal mnenje in dne 14. septembra 2017 potrdil zavrnitev vloge za dovoljenje za promet.

Kaj je zdravilo Masipro?

Masipro je zdravilo, ki vsebuje zdravilno učinkovino masitinib. Na voljo naj bi bilo v obliki tablet.

Za kaj naj bi se zdravilo Masipro uporabljalo?

Zdravilo Masipro naj bi se uporabljalo za zdravljenje odraslih s sistemsko mastocitozo, boleznijo, pri katerih je v koži, kosteh in različnih telesnih organih preveč mastocitov (vrste belih krvnih celic), ki povzročajo simptome, kot so srbeča koža, navali vročine, palpitacije, omedlevica, bolečine v kosteh, utrujenost, bruhanje, driska in depresija.

Zdravilo Masipro je bilo dne 16. novembra 2004 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za zdravljenje mastocitoze. Več informacij o zdravilih sirotah je na voljo [tukaj](#).

Kako zdravilo Masipro deluje?

Zdravilna učinkovina v zdravilu Masipro, masitinib, je zaviralec tirozin-kinaze. To pomeni, da zavira encime, znane kot tirozin-kinaze, ki se nahajajo v nekaterih receptorjih na mastocitih, vključno s

tistimi, ki sodelujejo pri stimulaciji rasti in delitve celic. Z zaviranjem teh encimov naj bi zdravilo Masipro pomagalo upočasniti rast mastocitov.

Katero dokumentacijo je družba predložila v podporo svoji vlogi?

Predlagatelj je predložil podatke glavne študije, ki je vključevala 135 bolnikov s sistemsko mastocitozo, ki so imeli hude simptome, vključno z vsaj enim izmed naslednjih štirih: srbenje, vročinski oblivi, depresija in utrujenost. V študiji so zdravilo Masipro primerjali s placebom (zdravilom brez zdravilne učinkovine). Glavno merilo učinkovitosti je temeljilo na izboljšanju katerega koli izmed teh simptomov v prvih 24 tednih zdravljenja.

Kateri so bili glavni zadržki, zaradi katerih je odbor CHMP predlagal zavrnitev dovoljenja za promet?

Odbor CHMP je imel zadržke glede zanesljivosti rezultatov študije, saj je rutinski inšpekcijski pregled dobre klinične prakse na lokacijah klinične študije pokazal resne pomanjkljivosti v načinu izvedbe študije. Poleg tega so v času izvajanja študije precej spremenili zasnovo študije, zato je rezultate težko razlagati. Tudi podatki o varnosti zdravila so bili omejeni in obstajali so pomisleki o neželenih učinkih zdravila, vključno z nevtropenijo (nizkim številom belih krvnih celic) in škodljivimi učinki na kožo in jetra, kar je bilo pomembno predvsem zato, ker naj bi se zdravilo uporabljalo dolgoročno.

Posledično je odbor CHMP tedaj menil, da koristi zdravila Masipro ne odtehtajo z njim povezanih tveganj, in priporočil, da se dovoljenje za promet z njim zavrne.

Zavrnitev odbora CHMP je bila po ponovnem pregledu potrjena.

Kakšne so posledice zavrnitve za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih ali programih sočutne uporabe?

Družba je obvestila odbor CHMP, da zavrnitev nima posledic za bolnike, ki so vključeni v klinična preizkušanja ali programe sočutne uporabe.

Če ste vključeni v klinično preskušanje ali program sočutne uporabe in potrebujete več informacij o zdravljenju, se obrnite na zdravnika, ki vam je predpisal zdravljenje.