



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

23 maj 2014  
EMA/298222/2014  
EMA/H/C/002659

## Frågor och svar

---

# Avslag på ansökan om beviljande av godkännande för försäljning av Masiviera (masitinib)

## Resultat av förnyad prövning

Den 23 januari 2014 antog kommittén för humanläkemedel, CHMP, ett negativt ställningstagande med rekommendationen att avslå ansökan om godkännande för försäljning av läkemedlet Masiviera, avsett för behandling av avancerad inoperabel pankreascancer. Företaget som ansökte om godkännandet är AB Science.

Den sökande begärde förnyad prövning av ställningstagandet. Efter att ha beaktat skälen till begäran omprövade CHMP det ursprungliga ställningstagandet och bekräftade den 22 maj 2014 sin rekommendation att avslå ansökan om godkännande för försäljning.

### Vad är Masiviera?

Masiviera är ett läkemedel mot cancer som innehåller den aktiva substansen masitinib. Det skulle finnas som tabletter.

### Vad skulle Masiviera användas för?

Masiviera skulle användas för att behandla vuxna med cancer i pankreas (bukspottkörteln, ett organ i matsmältningssystemet) som är lokalt avancerad eller metastaserande (har spridit sig till andra delar av kroppen), icke-resecerbar (inte lämplig för kirurgi) och åtföljs av åtminstone måttlig smärta. Det skulle användas i kombination med ett annat läkemedel mot cancer, gemcitabin.

Masitinib klassificerades den 28 oktober 2009 som ett sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) avsett att användas vid behandling av pankreascancer. För mer information, se [här](#).

### Hur var det tänkt att Masiviera skulle verka?

Den aktiva substansen i Masiviera, masitinib, är en tyrosinkinashämmare. Det innebär att den blockerar vissa enzym som kallas tyrosinkinaser. Dessa enzym finns i vissa receptorer på cellernas yta,



inräknat receptorerna som medverkar till att stimulera cancercellerna att dela sig okontrollerat. Genom att blockera dessa proteiner skulle Masiviera kunna hjälpa till att kontrollera celledelningen, så att cancer växer långsammare.

### **Vad har företaget lämnat till stöd för sin ansökan?**

Effekterna av Masiviera prövades först i olika experimentmodeller innan de studerades på människor.

Företaget lämnade in resultaten från en huvudstudie på 353 patients med avancerad eller metastaserande pankreascancer. Masiviera jämfördes med placebo (en överksam behandling) som ett tillägg till behandling med gemcitabin. Huvudmättet på effekt var hur länge patienterna överlevde med sin sjukdom. Företaget lämnade även in olika understödjande analyser och information från en understödjande studie.

### **Vad var det som främst fick CHMP att rekommendera avslag av ansökan?**

Under den ursprungliga utvärderingen noterade CHMP att resultaten av huvudstudien med Masiviera inte visade på effektivitet i den övergripande gruppen av patienter med avancerad eller metastaserande pankreascancer. Även om företaget lade fram analyser som tydde på att det fanns en nytta i undergruppen av patienter med vissa genetiska förändringar förknippade med en mer aggressiv sjukdom, samt i en i undergrupp av patienter med smärta, var inte studien utformad för att visa på nytta i dessa mindre grupper, och kommittén fann att ytterligare studier skulle behövas för att påvisa en sådan nytta. Dessutom var Masiviera förknippat med avsevärd toxicitet. Vidare hyste CHMP farhågor över produktens kvalitet, särskilt över de föroreningar som patienterna kan utsättas för och huruvida kommersiella satser av läkemedlet skulle hålla samma kvalitet som de som används för studierna.

Under den förnyade prövningen undersökte CHMP åter uppgifterna från företaget, inräknat ett förslag för ett villkorat godkännande i en begränsad patientgrupp, och rådfrågade även en grupp experter på behandling av pankreascancer. Kommittén bekräftade sitt ställningstagande att Masivieras effektivitet inte hade påvisats tillräckligt vid pankreascancer. Dessutom kvarstod fortfarande vissa farhågor över läkemedlets kvalitet. Därför drog CHMP slutsatsen att nyttan med Masiviera inte var större än riskerna och kvarhöll sin tidigare rekommendation att avslå ansökan om godkännande för försäljning av läkemedlet.

### **Vilka följder får avslaget för patienter i kliniska prövningar eller i program för användning av humanitära skäl ("compassionate use")?**

Företaget har informerat CHMP om att beslutet inte får några följder för patienter i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program.

Om du deltar i en klinisk prövning eller ett s.k. compassionate use-program och vill få mer information om din behandling kan du kontakta den läkare som ger dig läkemedlet.