



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Otázky a odpovědi

Zamítnutí registrace přípravku Masipro (masitinibum)

Výsledek přezkoumání

Dne 18. května 2017 přijal Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) záporné stanovisko ve věci registrace léčivého přípravku Masipro určeného k léčbě systémové mastocytózy a doporučil registraci tohoto přípravku zamítnout. Žádost o registraci podala společnost AB Science.

Žadatel požádal o přezkoumání původního stanoviska. Výbor CHMP poté, co posoudil důvody této žádosti, přezkoumal původní stanovisko a dne 14. září 2017 potvrdil zamítnutí registrace.

Co je Masipro?

Masipro je léčivý přípravek, který obsahuje léčivou látku masitinib. Měl být k dispozici ve formě tablet.

K čemu měl být přípravek Masipro používán?

Přípravek Masipro měl být používán k léčbě dospělých se systémovou mastocytózou, což je onemocnění, při němž je v kůži, kostech a různých tělních orgánech příliš mnoho mastocytů (typu bílých krvinek), což způsobuje příznaky, jako je svědění kůže, návaly horka, palpitace, mdloby, bolest kostí, únava, zvracení, průjem a deprese.

Přípravek Masipro byl označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“ dne 16. listopadu 2004 a měl být určen k léčbě mastocytózy. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete [zde](#).

Jak přípravek Masipro působí?

Léčivá látka v přípravku Masipro, masitinib, je „inhibitor tyrosinkinázy“. To znamená, že blokuje enzymy známé jako tyrosinkinázy, které se mohou nacházet v některých receptorech mastocytů, včetně těch, které se podílejí na stimulaci růstu a dělení buněk. Předpokládá se, že blokadou těchto enzymů přípravek Masipro pomáhá zpomalovat růst mastocytů.



Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Žadatel předložil údaje z hlavní studie zahrnující 135 pacientů se systémovou mastocytózou, kteří měli závažné příznaky včetně nejméně jednoho z těchto čtyř: svědění, návaly horka, deprese a únava. Tato studie porovnávala přípravek Masipro s placebem (neúčinným přípravkem). Hlavním měřítkem účinnosti bylo zlepšení kteréhokoliv z těchto čtyř příznaků během prvních 24 týdnů léčby.

Jaké byly hlavní důvody, na jejichž základě výbor CHMP registraci zamítl?

Výbor CHMP měl pochybnosti ohledně spolehlivosti výsledků studie, protože rutinní inspekce správné klinické praxe na pracovištích studie odhalila závažné nedostatky ve způsobu, jímž byla studie vedena. V průběhu studie navíc došlo k významnějším změnám v jejím plánu, což ztížilo interpretaci výsledků. Konečně byly omezené i údaje o bezpečnosti léčivého přípravku a existovaly obavy ohledně nežádoucích účinků léčivého přípravku, včetně neutropenie (nízkých hladin bílých krvinek) a škodlivých účinků na kůži a játra, které byly podstatné zejména z toho důvodu, že léčivý přípravek se měl užívat dlouhodobě.

Výbor CHMP tudíž zastával názor, že přínosy přípravku Masipro nepřevyšují jeho rizika, a doporučil registraci zamítnout.

Zamítnutí výbor CHMP potvrdil i po přezkoumání.

Jaké jsou důsledky zamítnutí registrace pro pacienty zařazené do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Masipro podáván v rámci léčby z humanitních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use)?

Společnost informovala výbor CHMP, že toto zamítnutí nemá žádné důsledky pro pacienty, kteří jsou v současné době zařazení do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Masipro podáván v rámci léčby z humanitních důvodů.

Pokud jste zařazení do klinické studie nebo do programu, v němž je přípravek Masipro podáván v rámci léčby z humanitních důvodů, a potřebujete získat více informací o své léčbě, obraťte se na lékaře, který vám přípravek podává.