



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Spørgsmål og svar

Afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse for Masipro (masitinib)

Resultat af revurderingen

Den 18. maj 2017 vedtog Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP) en negativ udtalelse, der anbefalede afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse for lægemidlet Masipro, der er beregnet til behandling af systemisk mastocytose. Virksomheden, der har indgivet ansøgningen, er AB Science.

Virksomheden har anmodet om en revurdering af udtalelsen. CHMP gennemgik begrundelsen for anmodningen og revurderede udtalelsen, og bekræftede den 14. september 2017 afslaget på ansøgningen om markedsføringstilladelse.

Hvad er Masipro?

Masipro er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof masitinib. Det var hensigten, at det skulle markedsføres som tabletter.

Hvad forventedes Masipro anvendt til?

Masipro skulle anvendes til behandling af voksne patienter med systemisk mastocytose, en sygdom, hvor der er for mange mastceller (en type hvide blodlegemer) i hud, knogler og forskellige organer, og som giver symptomer som hudkløe, hedeture, hjertebanken, besvimelse, knoglesmerter, træthed, opkastning, diarré og depression.

Masipro blev den 16. november 2004 udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" til behandling af mastocytose. Yderligere oplysninger om udpegelsen som lægemiddel til sjældne sygdomme findes [her](#).

Hvordan virker Masipro?

Det aktive stof i Masipro, masitinib, er en såkaldt tyrosinkinasehæmmer. Det betyder, at det blokerer for de enzymer, der kaldes tyrosinkinaser, og som findes i nogle af mastcellernes receptorer, herunder



dem, der stimulerer cellernes vækst og deling. Ved at blokere disse enzymer menes Masipro at medvirke til at bremse mastcellernes vækst.

Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden til støtte for sin ansøgning?

Ansøgeren fremlagde data fra en hovedundersøgelse af 135 patienter med systemisk mastocytose, der havde svære symptomer, herunder mindst ét af følgende fire: kløe, hedeure, depression og træthed. Undersøgelsen sammenlignede Masipro med placebo (en uvirksom behandling). Virkningen blev hovedsagelig målt på bedringen med hensyn til et eller flere af disse fire symptomer i løbet af de første 24 ugers behandling.

Hvori bestod CHMP's vigtigste betænkeligheder, der førte til afslaget?

CHMP var betænkelig ved undersøgelsesresultaternes pålidelighed, fordi man ved en rutinemæssig inspektion for god klinisk praksis (GCP) på undersøgelsescentre fandt alvorlige mangler i forhold til den måde, undersøgelsen var blevet gennemført på. Desuden blev der foretaget større ændringer i udformningen af undersøgelsen, mens undersøgelsen stadig var i gang, og det gjorde det vanskeligt at fortolke resultaterne. Endelig foreligger der kun begrænsede data om lægemidlets sikkerhed. Bivirkningerne vakte bekymring, herunder neutropeni (lavt antal hvide blodlegemer) og skadevirkninger på hud og lever. Disse bivirkninger var af særlig relevans, da lægemidlet var til langtidsbrug.

CHMP var derfor af den opfattelse, at fordelene ved Masipro ikke opvejede risiciene, og anbefalede afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse.

CHMP's afslag blev bekræftet ved revurderingen.

Hvilke konsekvenser har afslaget for patienter, der deltager i kliniske undersøgelser eller i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse?

Virksomheden har oplyst CHMP om, at beslutningen ikke vil få konsekvenser for patienter, der deltager i kliniske undersøgelser eller i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse.

Hvis du deltager i en klinisk undersøgelse eller i et program for anvendelse med særlig udleveringstilladelse og har behov for yderligere oplysninger om din behandling, kan du kontakte den læge, der behandler dig.