



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Fragen und Antworten

Versagung der Genehmigung für das Inverkehrbringen von Masipro (Masitinib)

Ergebnis der erneuten Überprüfung

Am 18. Mai 2017 verabschiedete der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) ein negatives Gutachten und empfahl die Versagung der Genehmigung für das Inverkehrbringen des Arzneimittels Masipro, das zur Behandlung von systemischer Mastozytose vorgesehen war. Das Unternehmen, das die Genehmigung beantragte, ist AB Science.

Der Antragsteller beantragte eine erneute Überprüfung des Gutachtens. Nach Abwägung der Gründe für dieses Ersuchen überprüfte der CHMP das ursprüngliche Gutachten erneut und bestätigte am 14. September 2017 die Versagung der Zulassung.

Was ist Masipro?

Masipro ist ein Arzneimittel, das den Wirkstoff Masitinib enthält. Es sollte als Tabletten erhältlich sein.

Wofür sollte Masipro angewendet werden?

Masipro sollte zur Behandlung von Erwachsenen mit systemischer Mastozytose angewendet werden, einer Erkrankung, bei der zu viele Mastzellen (einer Art weißer Blutzellen) in der Haut, den Knochen und verschiedenen Körperorganen vorkommen und dadurch Symptome wie juckende Haut, Hitzewallungen, Herzklopfen (Palpitationen), Ohnmacht, Knochenschmerzen, Müdigkeit, Erbrechen, Durchfall und Depression verursacht werden.

Masipro wurde am 16. November 2004 als „Orphan-Arzneimittel“ (Arzneimittel für seltene Leiden) gegen Mastozytose ausgewiesen. Weitere Informationen zu der Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie [hier](#).



Wie wirkt Masipro?

Der Wirkstoff in Masipro, Masitinib, ist ein Tyrosinkinase-Inhibitor. Dies bedeutet, dass das Arzneimittel Enzyme blockiert, die als Tyrosinkinasen bezeichnet werden und Bestandteil bestimmter Rezeptoren von Mastzellen, einschließlich derer, die das Zellwachstum und die Zellteilung anregen, sind. Es wird angenommen, dass Masipro durch Blockieren dieser Enzyme dazu beiträgt, das Wachstum der Mastzellen zu verlangsamen.

Welche Unterlagen hat das Unternehmen zur Stützung seines Antrags vorgelegt?

Der Antragsteller legte Daten aus einer Hauptstudie bei 135 Patienten mit systemischer Mastozytose vor, die schwerwiegende Symptome hatten, darunter mindestens eines der folgenden vier: Juckreiz, Hitzewallungen, Depression und Müdigkeit. In den Studien wurde Masipro mit einem Placebo (Scheinbehandlung) verglichen. Der Hauptindikator für die Wirksamkeit war die Besserung eines dieser vier Symptome während der ersten 24 Behandlungswochen.

Was waren die wesentlichen Bedenken, die den CHMP dazu veranlassten, die Versagung der Genehmigung für das Inverkehrbringen zu empfehlen?

Der CHMP hatte Bedenken hinsichtlich der Zuverlässigkeit der Studienergebnisse, da eine routinemäßige GCP-(gute klinische Praxis-)Inspektion der Prüfbüros ernsthafte Mängel bei der Durchführung der Studie ergab. Darüber hinaus wurden wesentliche Änderungen am Studiendesign der noch nicht abgeschlossenen Studie vorgenommen, was die Auswertung der Ergebnisse erschwerte. Des Weiteren waren die Daten zur Sicherheit des Arzneimittels begrenzt und es gab Bedenken hinsichtlich der Nebenwirkungen des Arzneimittels, einschließlich Neutropenie (geringe Anzahl weißer Blutzellen) und schädliche Auswirkungen auf Haut und Leber, die insbesondere deswegen von Bedeutung waren, da das Arzneimittel zur Langzeitbehandlung eingesetzt werden sollte.

Der CHMP war daher der Ansicht, dass der Nutzen von Masipro gegenüber den Risiken nicht überwiegt, und empfahl die Versagung der Genehmigung für das Inverkehrbringen.

Die Versagung seitens des CHMP wurde nach der erneuten Überprüfung bestätigt.

Welche Konsequenzen hat diese Versagung für Patienten, die derzeit an klinischen Prüfungen bzw. „Compassionate-Use“-Programmen teilnehmen?

Das Unternehmen teilte dem CHMP mit, dass sich keine Konsequenzen für Patienten ergeben, die an klinischen Studien oder „Compassionate-Use“-Programmen teilnehmen.

Sollten Sie an einer klinischen Studie oder einem „Compassionate-Use“-Programm teilnehmen und weitere Informationen zu Ihrer Behandlung benötigen, wenden Sie sich bitte an Ihren behandelnden Arzt.