



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

15 Σεπτεμβρίου 2017
EMA/599464/2017
EMA/H/C/004159

Ερωτήσεις και απαντήσεις

Απόρριψη της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το Masipro (μασιτινίμμη)

Αποτέλεσμα επανεξέτασης

Στις 18 Μαΐου 2017, η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) εξέδωσε αρνητική γνώμη, εισηγούμενη την απόρριψη της αίτησης χορήγησης άδειας κυκλοφορίας για το φαρμακευτικό προϊόν Masipro, το οποίο προορίζεται για τη θεραπεία της συστηματικής μαστοκυττάρωσης. Η εταιρεία που υπέβαλε αίτηση για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας είναι η AB Science.

Η εταιρεία ζήτησε επανεξέταση της αρχικής γνώμης. Κατόπιν εξέτασης των λόγων της αίτησης επανεξέτασης, η CHMP επανεξέτασε την αρχική γνώμη και επιβεβαίωσε την απόρριψη της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στις 14 Σεπτεμβρίου 2017.

Τι είναι το Masipro;

Το Masipro είναι φάρμακο που περιέχει τη δραστική ουσία μασιτινίμμη. Επρόκειτο να διατεθεί υπό μορφή δισκίων.

Σε ποιες περιπτώσεις επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί το Masipro;

Το Masipro επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί για τη θεραπεία ενηλίκων με συστηματική μαστοκυττάρωση, μια νόσο στην οποία παρατηρείται υπερβολικά μεγάλος αριθμός μαστοκυττάρων (τύπος λευκών αιμοσφαιρίων) στο δέρμα, με αποτέλεσμα την εμφάνιση συμπτωμάτων όπως κνησμός, εξάψεις, αίσθημα παλμών, λιποθυμία, οστικός πόνος, κόπωση, έμετος, διάρροια και κατάθλιψη.

Το Masipro χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο το οποίο χορηγείται για σπάνιες νόσους) στις 16 Νοεμβρίου 2004 για τη θεραπεία της μαστοκυττάρωσης. Περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τον χαρακτηρισμό των ορφανών φαρμάκων διατίθενται [εδώ](#).



Πώς δρα το Masipro;

Η δραστική ουσία του Masipro, η μασπινίμμη, είναι «αναστολέας της τυροσινικής κινάσης». Αυτό σημαίνει ότι αναστέλλει ένζυμα γνωστά ως τυροσινικές κινάσες, τα οποία υπάρχουν σε ορισμένους υποδοχείς των μαστοκυττάρων, συμπεριλαμβανομένων εκείνων που εμπλέκονται στη διέγερση της ανάπτυξης και του διαχωρισμού των κυττάρων. Αναστέλλοντας αυτά τα ένζυμα, το Masipro θεωρείται ότι βοηθά στην επιβράδυνση της ανάπτυξης των μαστοκυττάρων.

Τι είδους τεκμηρίωση υπέβαλε η παρασκευάστρια εταιρεία προς στήριξη της αίτησής της;

Ο αιτών υπέβαλε δεδομένα από μια κύρια μελέτη στην οποία μετείχαν 135 ασθενείς με συστηματική μαστοκυττάρωση, οι οποίοι υπέφεραν από σοβαρά συμπτώματα, συμπεριλαμβανομένου τουλάχιστον ενός από τα ακόλουθα τέσσερα συμπτώματα: κνησμός, εξάψεις, κατάθλιψη και κόπωση. Στη μελέτη αυτή, το Masipro συγκρίθηκε με εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία). Ο κύριος δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας βασίστηκε στις βελτιώσεις που παρατηρήθηκαν σε οποιοδήποτε από αυτά τα τέσσερα συμπτώματα κατά τη διάρκεια των πρώτων 24 εβδομάδων θεραπείας.

Ποιες είναι οι σημαντικότερες ανησυχίες οι οποίες οδήγησαν στην απόρριψη της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας από την CHMP;

Η CHMP εξέφρασε ανησυχία σχετικά με την αξιοπιστία των αποτελεσμάτων της μελέτης επειδή ένας τυπικός έλεγχος ΟΚΠ (ορθής κλινικής πρακτικής) στα κέντρα της μελέτης αποκάλυψε σοβαρές αδυναμίες στον τρόπο διεξαγωγής της μελέτης. Επιπλέον, πραγματοποιήθηκαν μείζονες αλλαγές στον σχεδιασμό της μελέτης ενώ αυτή βρισκόταν σε εξέλιξη, γεγονός που δυσχέρανε την ερμηνεία των αποτελεσμάτων. Τέλος, τα δεδομένα σχετικά με την ασφάλεια του φαρμάκου ήταν περιορισμένα και διατυπώθηκαν ανησυχίες σχετικά με τις ανεπιθύμητες ενέργειες του φαρμάκου, όπως ουδετεροπενία (χαμηλά επίπεδα λευκών αιμοσφαιρίων) και επιβλαβείς επιδράσεις στο δέρμα και το ήπαρ, οι οποίες ήταν σχετικές λόγω κυρίως της προβλεπόμενης μακροπρόθεσμης χρήσης του φαρμάκου.

Ως εκ τούτου, η CHMP διατύπωσε τη γνώμη ότι τα οφέλη του Masipro δεν υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την απόρριψη της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας.

Η απόρριψη της αίτησης από την CHMP επιβεβαιώθηκε μετά την επανεξέταση.

Ποιες είναι οι επιπτώσεις από την απόρριψη της αίτησης στους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές ή προγράμματα παρηγορητικής χρήσης;

Η εταιρεία ενημέρωσε την CHMP ότι η απόρριψη της αίτησης δεν έχει συνέπειες για τους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές ή προγράμματα παρηγορητικής χρήσης.

Εάν συμμετέχετε σε κλινική δοκιμή ή πρόγραμμα παρηγορητικής χρήσης και χρειάζεστε περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία σας, συμβουλευθείτε τον γιατρό που σας τη χορηγεί.