



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

15 de septiembre de 2017  
EMA/599464/2017  
EMA/H/C/004159

## Preguntas y respuestas

---

# Denegación de la autorización de comercialización de Masipro (masitinib)

## Resultado de la revisión

El 18 de mayo de 2017, el Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) emitió un dictamen negativo en el que recomendaba que se denegara la autorización de comercialización del medicamento Masipro, que iba a utilizarse para el tratamiento de la mastocitosis sistémica. La empresa que solicitó la autorización es AB Science.

La empresa pidió la revisión del dictamen inicial. Tras considerar el fundamento de esta solicitud, el CHMP revisó el dictamen y confirmó la denegación de la autorización de comercialización el 14 de septiembre de 2017.

### ¿Qué es Masipro?

Masipro es un medicamento que contiene el principio activo masitinib. Iba a presentarse en forma de comprimidos.

### ¿A qué uso estaba destinado Masipro?

Masipro iba a utilizarse para el tratamiento de adultos con mastocitosis sistémica, una enfermedad en la que hay un exceso de mastocitos (un tipo de glóbulo blanco) en la piel, los huesos y varios órganos del cuerpo, lo que provoca síntomas como picor de piel, sofocos, palpitaciones, desmayo, dolor de huesos, cansancio, vómitos, diarrea y depresión.

Masipro fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 16 de noviembre de 2004 para la mastocitosis. Puede encontrarse más información sobre la designación de medicamento huérfano [aquí](#).



## **¿Cómo actúa Masipro?**

El principio activo de Masipro, el masitinib, es un inhibidor de la tirosina quinasa, lo que significa que bloquea las enzimas denominadas tirosina-quinasa, que se encuentran en algunos receptores de los mastocitos, como los que estimulan el crecimiento y la división de las células. Al bloquear estas enzimas, se cree que Masipro ayuda a retrasar el crecimiento de los mastocitos.

## **¿Qué documentación presentó la empresa en apoyo de su solicitud?**

El solicitante presentó los datos de un estudio principal en el que participaron 135 pacientes con mastocitosis sistémica que tenían síntomas graves, entre ellos, al menos uno de los cuatro siguientes: picor, sofocos, depresión y cansancio. En el estudio, Masipro se comparó con un placebo (un tratamiento ficticio). El criterio de eficacia principal se basó en las mejorías de cualquiera de estos cuatro síntomas durante las primeras 24 semanas de tratamiento.

## **¿Cuáles fueron las principales reservas que llevaron al CHMP a recomendar que se denegara la autorización de comercialización?**

El CHMP expresó su preocupación por la fiabilidad de los resultados del estudio, ya que una inspección rutinaria de los centros de estudio conforme a las GPC (buenas prácticas clínicas) reveló graves deficiencias en la forma en que se había realizado el estudio. Además, se hicieron cambios importantes en el diseño del estudio mientras este estaba en marcha, lo que dificultó la interpretación de los resultados. Por último, se disponía de pocos datos sobre la seguridad del medicamento y había cierta preocupación acerca de los efectos adversos, como la neutropenia (niveles bajos de glóbulos blancos), y los efectos nocivos sobre la piel y el hígado, que eran relevantes especialmente porque el medicamento se iba a utilizar a largo plazo.

Por tanto, el CHMP consideró que los beneficios de Masipro no eran mayores que sus riesgos y recomendó que se denegara la autorización de comercialización.

La denegación del CHMP fue confirmada después de la revisión.

## **¿Qué consecuencias tiene esta denegación para los pacientes que participan en los ensayos clínicos o programas de uso compasivo?**

La empresa informó al CHMP de que no hay consecuencias para los pacientes que participan en ensayos clínicos o programas de uso compasivo.

Si participa usted en un ensayo clínico o programa de uso compasivo y precisa información adicional acerca de su tratamiento, póngase en contacto con el médico que le administra el medicamento.