



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kysymyksiä ja vastauksia

Lääkevalmisteen Masipro (masitinibi) myyntilupahakemuksen epääminen

Uudelleenarvioinnin tulos

Lääkevalmistekomitea (CHMP) antoi 18. toukokuuta 2017 kielteisen lausunnon, jossa se suosittelee myyntiluvan epäämistä systeemisen mastosytoosin hoitoon tarkoitetulta Masipro-lääkevalmisteelta. Myyntilupaa hakenut yhtiö on AB Science.

Yhtiö pyysi alkuperäisen lausunnon uudelleenarviointia. Tutkittuaan pyynnön perustelut lääkevalmistekomitea käsitteli lausuntonsa uudelleen ja vahvisti myyntiluvan epäämisen 14. syyskuuta 2017.

Mitä Masipro on?

Masipro on lääke, jonka vaikuttava aine on masitinibi. Lääkevalmistetta oli tarkoitus saada tabletteina.

Mihin Masiprota oli tarkoitus käyttää?

Masiprota oli tarkoitus käyttää aikuisille systeemisen mastosytoosin hoitoon. Tämä on sairaus, jossa ihossa, luustossa ja kehon eri elimissä on liian paljon syöttösoluja (tietynätyypisiä valkosoluja). Se aiheuttaa oireita, kuten ihon kutinaa, kuumia aaltoja, sydämentykytystä, pyörtymistä, luukipua, väsymystä, oksentelua, ripulia ja masennusta.

Masipro nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisissa sairauksissa käytettävä lääke) 16. marraskuuta 2004 mastosytoosin hoitoa varten. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on [tässä](#).

Miten Masipro vaikuttaa?

Masipron vaikuttava aine masitinibi on tyrosiinikinaasin estäjä. Tämä tarkoittaa sitä, että se estää tyrosiinikinaasi-nimisiä entsyymejä, joita voi olla joissakin syöttösolujen reseptoreissa, myös niissä, jotka stimuloivat solujen kasvua ja jakautumista. Estämällä näitä entsyymejä Masipron uskotaan hidastavan syöttösolujen kasvua.



Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Hakija esitti tiedot päätutkimuksesta. Siihen osallistui 135 systeemistä mastosytoosia sairastavaa potilasta, joilla oli vaikeita oireita, mukaan lukien vähintään yksi seuraavista neljästä: kutina, kuumat aallot, masennus ja väsymys. Tutkimuksessa Masiprota verrattiin lumelääkkeeseen (näennäishoitoon). Tehon pääasiallinen mitta perustui minkä tahansa näiden neljän oireen paranemiseen ensimmäisen 24 hoitoviikon aikana.

Mitkä olivat lääkevalmistekomitean tärkeimmät epäämiseen johtaneet huolenaiheet?

Lääkevalmistekomitea oli huolissaan tutkimustulosten luotettavuudesta, sillä hyvän kliinisen tutkimustavan (GCP) rutiinitarkistukset paljastivat vakavia puutteita tutkimuksen toteuttamistavassa. Lisäksi tutkimusasetelmaan tehtiin suuria muutoksia tutkimuksen jo ollessa meneillään, mikä vaikeutti tulosten tulkintemista. Lopuksi, lääkkeen turvallisuutta koskevat tiedot olivat vähäisiä ja huolta aiheuttivat lääkkeen sivuvaikutukset, kuten neutropenia (veren valkosolujen niukkuus) ja haitalliset vaikutukset ihoon ja maksaan, jotka olivat erityisen merkityksellisiä, koska lääke oli tarkoitettu pitkäaikaiseen käyttöön.

Tämän vuoksi lääkevalmistekomitea totesi, ettei Masipron hyöty ollut sen riskejä suurempi, ja suositteli myyntiluvan epäämistä valmisteelta.

Lääkevalmistekomitea vahvisti epäämisen uudelleenarvioinnin jälkeen.

Mitä seurauksia epäamisestä on potilaille, jotka osallistuvat kliinisiin kokeisiin tai erityiskäyttöohjelmiin?

Yhtiö on ilmoittanut, ettei päätöksellä ole mitään seurauksia kliinisiin kokeisiin tai erityiskäyttöohjelmaan osallistuville potilaille.

Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa tai erityiskäyttöohjelmassa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, ota yhteyttä hoitavaan lääkäriin.