



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Questions et réponses

Refus de l'autorisation de mise sur le marché pour Masipro (masitinib)

Résultats de la procédure de réexamen

Le 18 mai 2017, le comité des médicaments à usage humain (CHMP) a adopté un avis négatif et a recommandé le refus de l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché pour Masipro, un médicament destiné au traitement de la mastocytose systémique. La société ayant demandé l'autorisation est AB Science.

La société a sollicité un réexamen de l'avis initial. Après avoir passé en revue les motifs de cette requête, le CHMP a réexaminé son avis et confirmé la recommandation de refus de l'octroi d'autorisation de mise sur le marché, le 14 septembre 2017.

Qu'est-ce que Masipro?

Masipro est un médicament qui contient le principe actif masitinib. Il devait être disponible sous la forme de comprimés.

Dans quel cas Masipro devait-il être utilisé?

Masipro devait être utilisé dans le traitement des adultes atteints de mastocytose systémique, une maladie caractérisée par l'excès de mastocytes (un type de globule blanc) dans la peau, les os et divers organes du corps, qui entraîne l'apparition des symptômes suivants: démangeaisons cutanées, bouffées de chaleur, palpitations, évanouissement, douleurs osseuses, fatigue, vomissements, diarrhée et dépression.

Masipro a été désigné comme étant un «médicament orphelin» (médicament utilisé pour des maladies rares) le 16 novembre 2004 pour la mastocytose. Des informations complémentaires sur la désignation de médicament orphelin sont disponibles [ici](#).



Comment Masipro agit-il?

Le principe actif de Masipro, le masitinib, est un inhibiteur de la tyrosine kinase. Cela signifie qu'il bloque l'action d'enzymes appelées «tyrosine kinases» pouvant se trouver dans certains récepteurs des mastocytes, y compris ceux qui contribuent à stimuler la croissance et la division cellulaires. En bloquant l'action de ces enzymes, Masipro contribuerait au ralentissement de la croissance des mastocytes.

Quelle a été la documentation présentée par la société pour justifier sa demande?

Le demandeur a présenté des données issues d'une étude principale réalisée auprès de 135 patients atteints de mastocytose systémique qui présentaient des symptômes graves, y compris au moins un des quatre symptômes suivants: démangeaisons, bouffées de chaleur, dépression et fatigue. Dans le cadre de cette étude, Masipro a été comparé à un placebo (traitement fictif). Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était basé sur l'observation d'améliorations pour l'un de ces quatre symptômes au cours des 24 premières semaines de traitement.

Quelles ont été les principales réserves du CHMP ayant conduit au refus?

Le CHMP a émis des réserves quant à la fiabilité des résultats de l'étude car une inspection BPC (bonnes pratiques cliniques) de routine a révélé de sérieux manquements en ce qui concerne la manière dont l'étude a été menée. En outre, des modifications majeures ont été apportées au plan de l'étude pendant la réalisation de celle-ci, ce qui a rendu l'interprétation des résultats difficile. Enfin, les données relatives à la sécurité du médicament étaient limitées et des réserves ont été émises quant aux effets indésirables du produit, y compris la neutropénie (faible taux de globules blancs) et des effets néfastes sur la peau et le foie, lesquelles étaient particulièrement pertinentes puisque le médicament était destiné à une utilisation à long terme.

Par conséquent, le CHMP a estimé que les bénéfices de Masipro n'étaient pas supérieurs à ses risques, et le comité a donc recommandé le refus de l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché pour ce médicament.

Le refus du CHMP a été confirmé au terme du réexamen.

Quelles sont les conséquences du refus pour les patients participant aux essais cliniques ou bénéficiant de programmes d'utilisation compassionnelle?

La société a informé le CHMP qu'il n'y a aucune conséquence pour les patients participant à des essais cliniques ou à des programmes d'utilisation compassionnelle.

Si vous participez à un essai clinique ou à un programme d'utilisation compassionnelle et si vous souhaitez obtenir des informations supplémentaires sur votre traitement, contactez le médecin qui vous a prescrit le traitement.