



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2014. március 21.
EMA/167920/2014
EMA/H/C/002670

Kérdések és válaszok

A Masican-ra (maszitinib) vonatkozó forgalomba hozatali engedély elutasítása

A felülvizsgálat eredménye

2013. november 21-én az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP) negatív véleményt fogadott el, amelyben a malignus gasztrointesztinális stromális tumorban (GIST) szenvedő betegek kezelésére szánt Masican gyógyszerre vonatkozó forgalomba hozatali engedély elutasítását javasolta. Az engedélyt kérelmező vállalat az AB Science volt.

A kérelmező a vélemény felülvizsgálatát kérte. E kérelem indoklásának vizsgálatát követően a CHMP felülvizsgálta eredeti véleményét, és 2014. március 20-án megerősítette a forgalomba hozatali engedély elutasítását.

Milyen típusú gyógyszer az Masican?

A Masican egy rákellenes gyógyszer, amely hatóanyagként maszitinibet tartalmaz. Tabletta formájában tervezték forgalmazni.

Milyen alkalmazásra szánták a Masican-t?

A Masican-t a gyomor és a bélrendszer egy daganattípusa, a gasztrointesztinális stromális tumor (GIST) kezelésére szánták felnőtteknél, akiknél a tumort nem lehet műtétilag eltávolítani vagy továbbterjedt, és egy másik, ezen daganattípus kezelésére alkalmazott gyógyszerrel, az imatinibbal történő kezelés ellenére progrediál.

A Masican 2004. december 21-én a malignus GIST tekintetében „ritka betegségek gyógyszere” (ritka betegségekben használatos gyógyszer) minősítést kapott. További információk [itt](#) találhatóak.



Milyen hatásmechanizmust várnak a Masican-tól?

A Masican hatóanyaga, a maszitinib egy tirozin-kináz inhibitor. Ez azt jelenti, hogy gátolja az úgynevezett tirozin-kináz enzimeket. Ezek az enzimek a daganatos sejtek felszínén elhelyezkedő egyes receptorokban találhatóak. Ide tartoznak azok a receptorok, amelyek a sejtek kontrollálatlan osztódásának stimulálásában vesznek részt. Ezen receptorok gátlása által a Masican elősegítheti a sejtosztódás kontrollálását, és ezért lelassíthatja a rák növekedését.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A kérelmező egy fő vizsgálat eredményeit nyújtotta be, amelyben 44, GIST-ben szenvedő beteg vett részt, akiknél a tumort nem lehetett műtéti úton eltávolítani vagy továbbterjedt és rezisztens volt az imatinib kezelésre. A vizsgálatban a betegek egyik csoportja Masican-t, egy másik csoportja egy másik, ugyanabba az osztályba tartozó gyógyszert, szunitinibet kapott. A vizsgálat egy „II-es fázisú vizsgálat”, egy feltáró jellegű vizsgálat volt, amelyet arra terveztek, hogy megállapítsák, hogy a gyógyszer érdemes-e további tanulmányozásra. A hatékonyság fő mértéke a progressziómentes túlélés (meddig élt a beteg a betegség súlyosbodása nélkül) volt.

Melyek voltak a CHMP főbb aggályai, amelyek az elutasításhoz vezettek?

A kezdeti értékelés idején a CHMP aggályosnak tartotta, hogy a vizsgálatot nem arra tervezték, hogy összehasonlítsa a Masican-t a szunitinibbel, és hogy nehéz volt értelmezni az eredményeket. Habár úgy tűnt, hogy a Masican-nal kezelt betegek csoportja tovább élt, mint a szunitinibbel kezelt betegek, annak lehetősége, hogy ez véletlen egybeesés, nem volt kizárható a vizsgálat feltáró jellege és az egyéb, alátámasztó bizonyítékok hiánya miatt. Ezért a bizottság arra a következtetésre jutott, hogy nem volt elégséges adat a Masican előnyeinek igazolására.

A CHMP amiatt is aggályát fejezte ki, hogy a javasolt dózisban csupán néhány Masican-nal kezelt beteg vonatkozásában álltak rendelkezésre biztonságossági adatok, és ez nem tette lehetővé a gyógyszer mellékhatásainak megfelelő értékelését. Végül aggályok merültek fel a gyógyszer gyártás során történő minőségellenőrzésével kapcsolatosan, amely bizonytalanságokat eredményezett a szennyezőanyagok tekintetében, amelyeknek a betegek ki lennének téve.

A felülvizsgálat során, bár a gyógyszer biztonságossága kevésbé volt aggályos, a bizottságnak mégis súlyos agggodalmi voltak a gyógyszer előnyeirelően. Továbbá a gyártás során történő minőségellenőrzéssel kapcsolatos problémák továbbra is fennálltak. Ezért a CHMP arra a következtetésre jutott, hogy a Masican előnyei nem haladják meg a kockázatokat, és fenntartotta korábbi ajánlását, miszerint a gyógyszer forgalomba hozatali engedélyét meg kell tagadni.

Milyen következményekkel jár az elutasítás azokra a betegekre nézve, akik részt vettek a klinikai vizsgálatokban vagy az engedélyezés előtti kezelési programokban?

Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vagy engedélyezés előtti kezelési programban vesz részt, és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával!