



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kérdések és válaszok

A Masipro-ra (masztinib) vonatkozó forgalombahozatali engedély elutasítása

A felülvizsgálat eredménye

2017. május 18-án az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP) negatív véleményt fogadott el, amelyben a szisztémás masztocitózis kezelésére szánt Masipro-ra vonatkozó forgalombahozatali engedély elutasítását javasolta. Az engedélyt kérelmező vállalat az AB Science volt.

A vállalat az eredeti vélemény felülvizsgálatát kérte. E kérelem indokainak mérlegelését követően a CHMP felülvizsgálta a véleményt, és 2017. szeptember 14-én megerősítette a forgalombahozatali engedély iránti kérelem elutasítását.

Milyen típusú gyógyszer a Masipro?

A Masipro egy masztinib nevű hatóanyagot tartalmazó gyógyszer. Tabletta formájában tervezték forgalmazni.

Milyen alkalmazásra szánták az Masipro-t?

A Masipro-t felnőttek szisztémás masztocitózisának kezelésére szánták, amely egy olyan betegség, amelyben túl sok hízósejt (a fehérvérsejtek egyik fajtája) van jelen a bőrben, csontokban és számos szervben, és olyan tünetekhez vezet, mint a bőrvizketés, hőhullámok, szívdobogásérzés, ájulás, csontfájdalom, fáradtság, hányás, hasmenés és depresszió.

A Masipro 2004. november 16-án a masztocitózis vonatkozásában „ritka betegségek gyógyszere” (orphan drug) minősítést kapott. A ritka betegség elleni gyógyszerre minősítésről további információ [itt](#) található.

Hogyan fejt ki hatását a Masipro?

A Masipro hatóanyaga, a masztinib egy tirozin-kináz inhibitor. Ez azt jelenti, hogy gátolja a tirozin-kinázoknak nevezett enzimeket, amelyek megtalálhatók a hízósejtek néhány receptorában, többek



között azokban, amelyek szerepet játszanak a sejt növekedésének és osztódásának serkentésében. Úgy gondolják, hogy a Masipro ezeknek az enzimeknek a gátlásával segít visszafogni a hízósejtek növekedését.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A kérelmező egy fő vizsgálatból származó adatokat nyújtott be, amelybe 135, szisztémás masztocitózisban szenvedő, olyan beteget vontak be, akiknél súlyos mellékhatások jelentkeztek, köztük az alábbi négyből legalább egy jelen volt: viszketés, hőhullámok, depresszió és fáradtság. A vizsgálatokban a Masipro-t placebóval (hatóanyag nélküli kezeléssel) hasonlították össze. A fő hatékonysági mutató a négy tünet bármelyikében a kezelés első 24 hete alatt bekövetkező javulás volt.

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

A CHMP részéről aggályok merültek fel a vizsgálat eredményeinek megbízhatóságára vonatkozóan, mert a vizsgálati helyek helyes klinikai gyakorlat (GCP) szempontjából történt rutin ellenőrzése során súlyos hiányosságokra derült fény a vizsgálat végzésének módja tekintetében. Továbbá a vizsgálat alatt jelentősen módosították a vizsgálati terven, ami megnehezíti az eredmények értékelését. Végül a gyógyszer biztonságosságáról szóló adatok korlátozottak voltak, illetve aggályok merültek fel a gyógyszer mellékhatásait, többek között a neutropéniát (a fehérvérsejtek alacsony száma), valamint a bőrt és a májat érintő káros hatásokat illetően, ami azért volt különösen jelentős, mert a gyógyszert hosszú távú alkalmazásra szánták.

Ezért a CHMP azon a véleményen volt, hogy a Masipro előnyei nem haladják meg a kockázatokat, és a forgalombahozatali engedély kiadásának elutasítását javasolta.

A CHMP elutasítását a felülvizsgálat után megerősítették.

Milyen következményekkel jár az elutasítás azokra a betegekre nézve, akik klinikai vizsgálatokban engedélyezés előtti alkalmazási programokban vesznek részt?

A vállalat tájékoztatta a CHMP-t, hogy nincs következmény a klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti alkalmazási programban részt vevő betegekre nézve.

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