



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Domande e risposte

Rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio per Masipro (masitinib)

Esito del riesame

Il 18 maggio 2017, il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) ha adottato un parere negativo, raccomandando il rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio per il medicinale Masipro, destinato al trattamento della mastocitosi sistemica. La ditta che ha presentato la domanda di autorizzazione è AB Science.

La ditta ha chiesto un riesame del parere iniziale. Dopo aver considerato le motivazioni di tale richiesta, il CHMP ha riesaminato il parere, confermando il rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio il 14 settembre 2017.

Che cos'è Masipro?

Masipro è un medicinale che contiene il principio attivo masitinib. Avrebbe dovuto essere disponibile in compresse.

Per che cosa avrebbe dovuto essere usato Masipro?

Masipro avrebbe dovuto essere usato per il trattamento di adulti con mastocitosi sistemica, una malattia in cui sono presenti troppi mastociti (un tipo di globuli bianchi) nella pelle, nelle ossa e in diversi organi del corpo, che causano sintomi quali eritema pruriginoso della cute, vampate di calore, palpitazioni, svenimento, dolore osseo, stanchezza, vomito, diarrea e depressione.

Masipro è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 16 novembre 2004 per la mastocitosi. Ulteriori informazioni sulla designazione di medicinale orfano sono disponibili [qui](#).



Come agisce Masipro?

Il principio attivo di Masipro, masitinib, è un inibitore della tirosin-chinasi. Ciò significa che blocca gli enzimi noti come tirosin-chinasi, che possono essere presenti in alcuni recettori dei mastociti, compresi quelli coinvolti nella stimolazione della crescita e della divisione cellulare. Si ritiene che, bloccando questi enzimi, Masipro contribuisca a rallentare la crescita dei mastociti.

Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

Il richiedente ha presentato i dati di uno studio principale che ha coinvolto 135 pazienti affetti da mastocitosi sistemica che presentavano sintomi gravi, tra cui almeno uno dei seguenti quattro: prurito, vampate di calore, depressione e stanchezza. Nello studio, Masipro è stato confrontato con un placebo (trattamento fittizio). La misura principale dell'efficacia era basata sui miglioramenti in uno di questi quattro sintomi durante le prime 24 settimane di trattamento.

Quali sono stati i principali motivi che hanno comportato il rifiuto del CHMP?

Il CHMP aveva espresso dubbi in merito all'affidabilità dei risultati dello studio, poiché un esame di routine della buona prassi clinica nei luoghi interessati dallo studio aveva rivelato gravi carenze nella modalità in cui era stato condotto lo studio. Inoltre, sono state apportate importanti modifiche alla struttura dello studio durante il suo svolgimento, rendendo i risultati difficili da interpretare. Infine, i dati sulla sicurezza del medicinale erano limitati e vi erano preoccupazioni riguardo agli effetti collaterali del medicinale, tra cui la neutropenia (bassi livelli di globuli bianchi) ed effetti nocivi sulla pelle e sul fegato, rilevanti soprattutto perché il medicinale era destinato a un uso a lungo termine.

Pertanto, il CHMP ha ritenuto che i benefici di Masipro non fossero superiori ai suoi rischi e ne ha raccomandato il rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio.

Il rifiuto del CHMP è stato confermato dopo il riesame.

Quali sono le conseguenze del rifiuto per i pazienti inseriti in studi clinici o in programmi di uso compassionevole?

La ditta ha informato il CHMP che non vi sono conseguenze per i pazienti in studi clinici o programmi di uso compassionevole.

Le persone inserite in uno studio clinico o in un programma di uso compassionevole che abbiano bisogno di maggiori informazioni sul proprio trattamento possono consultare il medico che le sta trattando.