



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2017. gada 15. septembris
EMA/599464/2017
EMA/H/C/004159

Jautājumi un atbildes

Masipro (masitinibs) reģistrācijas apliecības atteikums

Atkārtotas pārskatīšanas iznākums

Cilvēkiem paredzēto zāļu komiteja (CHMP) 2017. gada 18. maijā pieņēma negatīvu atzinumu, iesakot atteikt reģistrācijas apliecības izsniegšanu zālēm *Masipro*, kas paredzētas sistēmiskas mastocitozes ārstēšanai. Uzņēmums, kas iesniedza reģistrācijas apliecības pieteikumu, ir *AB Science*.

Uzņēmums pieprasīja sākotnējā atzinuma atkārtotu pārskatīšanu. Pēc šīs prasības pamatojuma izvērtēšanas CHMP atkārtoti pārskatīja atzinumu un 2017. gada 14. septembrī apstiprināja atteikumu izsniegt reģistrācijas apliecību.

Kas ir *Masipro*?

Masipro ir zāles, kas satur aktīvo vielu masitinibu. Bija paredzēts, ka tās būs pieejamas tablešu veidā.

Kādam nolūkam bija paredzēts lietot *Masipro*?

Masipro bija paredzēts lietot, lai pieaugušajiem ārstētu sistēmisku mastocitozi, slimību, kuras gadījumā ādā, kaulos un dažādos orgānos ir pārāk daudz tuklo šūnu (tas ir balto asinsšūnu veids) un kas izraisa tādus simptomus kā ādas niezi, karstuma viļņus, palpitācijas (sirdsklauves), ģībšanu, sāpes kaulos, nogurumu, vemšanu, caureju un depresiju.

2004. gada 16. novembrī *Masipro* apstiprināja kā zāles retu slimību ārstēšanai, lai ārstētu mastocitozi. Sīkāka informācija par zāļu apzīmējumu reti sastopamu slimību ārstēšanai ir pieejama [šeit](#).

Kā *Masipro* darbojas?

Masipro aktīvā viela masitinibs ir tirozīnkināzes inhibitors. Tas nozīmē, ka tā bloķē enzīmus, ko sauc par tirozīnkināzēm un kas var būt sastopami dažos tuklo šūnu receptoros, tostarp tajos, kas iesaistīti šo šūnu augšanas un dalīšanās procesā. Bija iecerēts, ka, bloķējot šos enzīmus, *Masipro* palīdzēs palēnināt tuklo šūnu attīstību.



Kādus dokumentus uzņēmums iesniedza pieteikuma pamatošanai?

Pieteikuma iesniedzējs iesniedza datus no pamatpētījuma, kurā piedalījās 135 pacienti ar sistēmisku mastocitozi un smagiem simptomiem, tostarp vismaz vienu no šiem četriem simptomiem: nieze, karstuma viļņi, depresija un nogurums. Pētījumā *Masipro* tika salīdzinātas ar placebo (zāļu imitāciju). Galvenais efektivitātes rādītājs bija jebkura šī simptoma mazināšanās pirmo 24 ārstēšanas nedēļu laikā.

Kādas bija CHMP galvenās bažas, kuru dēļ tika pieņemts atteikums?

CHMP bija bažas par pētījuma rezultātu uzticamību, jo, veicot parasto LKP (labas klīniskās prakses) pārbaudi pētījuma centros, tika konstatētas nopietnas nepilnības pētījuma veikšanas procesā. Turklāt pētījuma laikā tika būtiski mainīts pētījuma plānojums, un tas sarežģīja rezultātu interpretēšanu. Visbeidzot, dati par zāļu drošumu bija ierobežoti, un bija bažas par zāļu blakusparādībām, tostarp neitropēniju (zemu balto asinsšūnu skaitu) un kaitīgu ietekmi uz ādu un aknām, kas ir īpaši nozīmīgi, jo šīs zāles bija paredzētas ilgstošai lietošanai.

Tāpēc CHMP uzskatīja, ka *Masipro* ieguvums nepārsniedz šo zāļu radīto risku, un ieteica neizsniegt šo zāļu reģistrācijas apliecību.

CHMP atteikums tika apstiprināts arī pēc atkārtotas pārskatīšanas.

Kādas sekas šis atteikums rada pacientiem, kuri piedalās klīniskajos pētījumos vai zāļu līdzcietīgas lietošanas programmās?

Uzņēmums informēja CHMP, ka šis lēmums neietekmēs pacientus, kuri piedalās klīniskajos pētījumos vai līdzcietīgas zāļu lietošanas programmās.

Ja jūs pašreiz piedalāties klīniskajā pētījumā vai līdzcietīgas zāļu lietošanas programmā un vēlaties saņemt plašāku informāciju par terapiju, jautājiet ārstam, kas jums to izraksta.