



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Vragen en antwoorden

Weigering van de vergunning voor het in de handel brengen van Masipro (masitinib)

Uitkomst van heroverweging

Op 18 mei 2017 bracht het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) een negatief advies uit, met een aanbeveling tot weigering van de vergunning voor het in de handel brengen van het geneesmiddel Masipro, bedoeld voor de behandeling van systemische mastocytose. De firma die de aanvraag indiende is AB Science.

De firma heeft een verzoek gedaan tot heroverweging van het oorspronkelijke advies. Na de redenen voor dit verzoek te hebben overwogen, onderzocht het CHMP het advies opnieuw en bevestigde het op 14 september 2017 de weigering van de handelsvergunning.

Wat is de Masipro?

Masipro is een middel dat de werkzame stof masitinib bevat. Het zou verkrijgbaar zijn in de vorm van tabletten.

Voor welke behandeling was Masipro bedoeld?

Masipro zou worden gebruikt voor de behandeling van volwassenen met systemische mastocytose, een ziekte waarbij te veel mestcellen (een type witte bloedcellen) in de huid, botten en verschillende organen in het lichaam aanwezig zijn, wat leidt tot symptomen zoals jeukende huid, opvliegers, hartkloppingen, flauwvallen, botpijn, vermoeidheid, braken, diarree en depressie.

Masipro werd op 16 november 2004 voor mastocytose aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame ziekten). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u [hier](#).



Hoe werkt Masipro?

De werkzame stof in Masipro, masitinib, is een tyrosinekinaseremmer. Dit betekent dat de stof enzymen blokkeert die worden aangeduid als tyrosinekinasen. Deze enzymen worden aangetroffen in bepaalde receptoren in mestcellen, waaronder de cellen die een rol spelen bij het stimuleren van celgroei en celdeling. Men vermoedt dat Masipro helpt de groei van de mestcellen te vertragen door deze enzymen te blokkeren.

Welke documentatie heeft de firma ingediend als ondersteuning van de aanvraag?

De aanvrager overlegde gegevens van een hoofdonderzoek bij 135 patiënten met systemische mastocytose die ernstige symptomen hadden, waaronder ten minste een van de volgende vier: jeuk, opvliegers, depressie en vermoeidheid. In het onderzoek werd Masipro vergeleken met placebo (een schijnbehandeling). De belangrijkste graadmeter voor de werkzaamheid was de vermindering van een of meer van deze vier symptomen tijdens de eerste 24 weken van de behandeling.

Wat waren de grootste problemen die geleid hebben tot weigering van de vergunning voor het in de handel brengen?

Het CHMP maakte zich zorgen over de betrouwbaarheid van de onderzoeksresultaten omdat een standaardinspectie van de GCP (goede klinische praktijk) op de onderzoekscentra ernstige tekortkomingen aan het licht had gebracht over de wijze waarop het onderzoek was uitgevoerd. Daarnaast werden belangrijke wijzigingen in de onderzoeksopzet aangebracht terwijl het onderzoek in gang was, waardoor het moeilijk was de resultaten te interpreteren. Tot slot waren de gegevens over de veiligheid van het geneesmiddel beperkt en waren er bedenkingen met betrekking tot de bijwerkingen van het geneesmiddel, waaronder neutropenie (lage concentraties witte bloedcellen) en schadelijke effecten op de huid en de lever, die vooral relevant waren omdat het geneesmiddel voor langdurig gebruik bedoeld was.

Daarom was het CHMP van mening dat de voordelen van Masipro niet opwogen tegen de risico's ervan en adviseerde het de handelsvergunning te weigeren.

De weigering van het CHMP werd bevestigd na heronderzoek.

Welke gevolgen heeft de weigering voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven of die het geneesmiddel met speciale toestemming krijgen toegediend?

De firma deelde het CHMP mee dat er geen gevolgen zijn voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven met Masipro, noch voor patiënten die het geneesmiddel met speciale toestemming krijgen toegediend.

Indien u deelneemt aan een klinische proef of het geneesmiddel met speciale toestemming krijgt en meer informatie wenst over uw behandeling, neemt u dan contact op met uw behandelend arts.