



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

15 de setembro de 2017
EMA/599464/2017
EMA/H/C/004159

Perguntas e respostas

Recusa da Autorização de Introdução no Mercado para Masipro (masitinib)

Resultado do reexame

Em 18 de maio de 2017, o Comité dos Medicamentos para Uso Humano (CHMP) adotou um parecer negativo recomendando a recusa da Autorização de Introdução no Mercado para o medicamento Masipro, destinado ao tratamento da mastocitose sistêmica. A empresa que apresentou o pedido de Autorização de Introdução no Mercado é a AB Science.

A empresa solicitou um reexame do parecer inicial. Após avaliar os fundamentos do pedido, o CHMP reexaminou o parecer e, em 14 de setembro de 2017, confirmou a recusa da Autorização de Introdução no Mercado.

O que é o Masipro?

O Masipro é um medicamento que contém a substância ativa masitinib. O medicamento iria ser disponibilizado na forma de comprimidos.

Qual a utilização prevista para o Masipro?

Previa-se que o Masipro fosse utilizado no tratamento de adultos com mastocitose sistêmica, uma doença em que existem demasiados mastócitos (um tipo de glóbulo branco) na pele, nos ossos e em vários órgãos do corpo, provocando sintomas tais como comichão na pele, afrontamentos, palpitações, desmaio, dor óssea, cansaço, vômitos, diarreia e depressão.

O Masipro foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 16 de novembro de 2004 para a mastocitose. Pode obter informações adicionais sobre a designação de medicamento órfão [aqui](#).



Como funciona o Masipro?

A substância ativa do Masipro, o masitinib, é um «inibidor da tirosina cinase». Isto significa que bloqueia enzimas conhecidas como tirosina cinases, que podem ser encontradas em alguns recetores nos mastócitos, incluindo os envolvidos na estimulação do crescimento e da divisão das células. Ao bloquear estas enzimas, pensa-se que o Masipro ajuda a abrandar o crescimento dos mastócitos.

Que documentação foi apresentada pela empresa a acompanhar o pedido?

O requerente apresentou dados de um estudo principal que incluiu 135 doentes com mastocitose sistémica que tinham sintomas graves, incluindo pelo menos um dos seguintes quatro: comichão, afrontamentos, depressão e cansaço. No estudo, o Masipro foi comparado com um placebo (tratamento simulado). O principal parâmetro de eficácia baseou-se em melhorias de qualquer um destes quatro sintomas durante as primeiras 24 semanas de tratamento.

Quais foram as principais preocupações do CHMP que levaram à recusa?

O CHMP estava preocupado com a fiabilidade dos resultados do estudo, dado que uma inspeção de rotina das BPC (boas práticas clínicas) nos locais do estudo revelou falhas graves no modo como o estudo foi conduzido. Além disso, foram feitas grandes alterações ao desenho do estudo enquanto este estava a decorrer, que tornaram os resultados difíceis de interpretar. Por fim, os dados relativos à segurança do medicamento eram limitados e havia receios quanto aos efeitos secundários do medicamento, incluindo neutropenia (níveis baixos de glóbulos brancos) e efeitos nocivos na pele e no fígado, que eram particularmente relevantes porque o medicamento se destinava a ser utilizado a longo prazo.

Por conseguinte, o CHMP considerou que os benefícios do Masipro não eram superiores aos seus riscos e recomendou a recusa da Autorização de Introdução no Mercado.

A recusa do CHMP foi confirmada após o reexame.

Quais as consequências desta recusa para os doentes incluídos em ensaios clínicos ou programas de uso compassivo?

A empresa informou o CHMP de que não existem consequências para os doentes incluídos em ensaios clínicos ou programas de uso compassivo.

Se estiver incluído num ensaio clínico ou num programa de uso compassivo e necessitar de informação adicional sobre o tratamento, contacte o médico que lhe receitou o medicamento.