



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Întrebări și răspunsuri

Refuzul autorizației de punere pe piață pentru Masipro (masitinib)

Rezultatul reexaminării

La 18 mai 2017, Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) a adoptat un aviz negativ, recomandând refuzul autorizației de punere pe piață pentru medicamentul Masipro, destinat tratamentului mastocitozei sistemice. Compania care a solicitat autorizația este AB Science.

Compania a cerut reexaminarea avizului inițial. După analizarea motivelor acestei cereri, CHMP a reexaminat avizul și a confirmat refuzul autorizației de punere pe piață la 14 septembrie 2017.

Ce este Masipro?

Masipro este un medicament care conține substanța activă masitinib. Medicamentul urma să fie disponibil sub formă de comprimate.

Pentru ce ar fi trebuit să se utilizeze Masipro?

Masipro ar fi trebuit să se utilizeze pentru tratamentul adulților cu mastocitoză sistemică, o boală în care se acumulează un număr prea mare de celule mastocitare (un tip de leucocite) în piele, oase și diferite organe ale corpului, cauzând simptome precum mâncărime la nivelul pielii, bufeuri, palpitații, leșin, dureri osoase, oboseală, vărsături, diaree și depresie.

Masipro a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în bolile rare) pentru mastocitoză la data de 16 noiembrie 2004. Informații suplimentare privind desemnarea ca medicament orfan sunt disponibile [aici](#).

Cum acționează Masipro?

Substanța activă din Masipro, masitinibul, este un inhibitor al tirozin kinazei. Aceasta înseamnă că blochează enzimele cunoscute sub denumirea de tirozin kinaze, care se găsesc în unii receptori din celulele mastocitare, inclusiv în receptorii implicați în stimularea creșterii și diviziunii celulare. Se



consideră că, prin blocarea acestor enzime, Masipro contribuie la încetinirea dezvoltării celulelor mastocitare.

Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?

Solicitantul a prezentat date obținute dintr-un studiu principal, care a cuprins un total de 135 de pacienți cu mastocitoză sistemică ce prezentau simptome severe, inclusiv cel puțin unul dintre următoarele patru: mâncărime, bufeuri, depresie și oboseală. În cadrul studiului, Masipro a fost comparat cu placebo (un preparat inactiv). Principalul indicator al eficacității s-a bazat pe ameliorarea oricăruia dintre aceste patru simptome în decursul celor 24 de săptămâni de tratament.

Care au fost principalele motive de îngrijorare ale CHMP care au condus la refuz?

CHMP avea unele motive de îngrijorare legate de fiabilitatea rezultatelor studiului, deoarece o inspecție de rutină a BPC (bunele practici clinice) la locurile de desfășurare a studiului a relevat nereguli grave legate de modul în care fusese realizat acesta. În plus, structura studiului a suferit modificări majore în timp ce acesta se afla în derulare, ceea ce a făcut dificilă interpretarea rezultatelor. Nu în ultimul rând, datele cu privire la siguranța medicamentului au fost limitate și au existat motive de îngrijorare legate de reacțiile adverse la medicament, care includ neutropenie (valori scăzute ale leucocitelor) și efecte nocive asupra pielii și a ficatului, acest lucru fiind relevant în special deoarece medicamentul urma să fie folosit pe termen lung.

Prin urmare, în opinia CHMP, beneficiile Masipro nu depășeau riscurile asociate, motiv pentru care s-a recomandat refuzul autorizației de punere pe piață pentru acest medicament.

Refuzul CHMP a fost confirmat după reexaminare.

Care sunt consecințele acestui refuz pentru pacienții implicați în studii clinice sau în programe de uz compasional?

Compania a informat CHMP că nu există consecințe pentru pacienții implicați în studii clinice sau în programe de uz compasional.

Dacă participați la un studiu clinic sau la un program de uz compasional și aveți nevoie de informații suplimentare despre tratamentul dumneavoastră, adresați-vă medicului care vă administrează acest medicament.