



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

21. marca 2014
EMA/167920/2014
EMA/H/C/002670

Otázky a odpovede

Zamietnutie povolenia na uvedenie na trh pre liek Masican (masitinib)

Výsledok opätovného preskúmania

Dňa 21. novembra 2013 prijal výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) negatívne stanovisko odporúčajúce zamietnutie povolenia na uvedenie na trh pre liek Masican určený na liečbu malígneho gastrointestinálneho stromálneho tumoru (GIST). Spoločnosť, ktorá požiadala o povolenie, je AB Science.

Žiadateľ požiadal o opätovné preskúmanie stanoviska. Po zvážení podkladov k tejto žiadosti výbor CHMP opätovne preskúmal pôvodné stanovisko a 20. marca 2014 potvrdil zamietnutie povolenia na uvedenie na trh.

Čo je liek Masican?

Masican je protirakovinový liek, ktorý obsahuje účinnú látku masitinib. Liek mal byť k dispozícii vo forme tabliet.

Aké bolo predpokladané použitie lieku Masican?

Liek Masican sa mal používať na liečbu gastrointestinálneho stromálneho tumoru (GIST), čo je karcinóm žalúdka a čreva u dospelých, ktorý sa nemôže odstrániť chirurgicky alebo ktorý sa rozšíril a zhoršuje sa napriek liečbe imatinibom, ďalším liekom používaným na liečbu tohto karcinómu.

Liek Masican bol 21. decembra 2004 označený ako liek na ojedinelé ochorenia na liečbu malígneho ochorenia GIST. Viac informácií sa nachádza [tu](#).

Akým spôsobom by mal liek Masican účinkovať?

Účinná látka lieku Masican, masitinib, je inhibítor tyrozínkinázy. To znamená, že blokuje určité enzýmy známe ako tyrozínkinázy. Tieto enzýmy sa môžu nachádzať v niektorých receptoroch na povrchu



rakovinových buniek vrátane receptorov, ktoré sa podieľajú na stimulácii nekontrolovaného delenia buniek. Zablockovaných týchto receptorov by liek Masican mohol pomôcť pri kontrole bunkového delenia, a tým spomaliť rast karcinómu.

Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Žiadateľ predložil výsledky hlavnej štúdie, ktorej sa zúčastnilo 44 pacientov s tumorom GIST, ktorý sa nemohol odstrániť chirurgicky alebo ktorý sa rozšíril a bol rezistentný voči liečbe imatinibom. Štúdia zahŕňala skupinu pacientov liečených liekom Masican a skupinu pacientov liečených sunitinibom, ďalším liekom z rovnakej triedy. Bola to štúdia fázy II, čiže prieskumná štúdia, ktorej cieľom bolo zistiť, či sa má pokračovať v ďalšom skúmaní lieku. Hlavným meradlom účinnosti bolo prežité bez progresie (čas, počas ktorého sa ochorenie pacientov nezhoršilo).

Aké hlavné výhrady viedli výbor CHMP k odporúčaniam zamietnuť povolenie na uvedenie na trh?

V čase pôvodného hodnotenia mal výbor CHMP výhrady, že štúdia nebola určená na porovnanie lieku Masican so sunitinibom a že bolo ťažké interpretovať výsledky. Aj keď sa zdá, že skupina pacientov liečených liekom Masican žije dlhšie ako skupina pacientov liečených sunitinibom, možnosť, že je to náhodné zistenie, sa nemohla vylúčiť vzhľadom na prieskumnú povahu štúdie a vzhľadom na neprítomnosť ďalších podporných dôkazov. Výbor preto dospel k záveru, že údaje na stanovenie prínosov lieku Masican nie sú dostatočné.

Výbor CHMP mal tiež výhrady, že bezpečnostné údaje boli k dispozícii len pre málo pacientov liečených liekom Masican v navrhutej dávke, čo neumožnilo náležité vyhodnotenie vedľajších účinkov lieku. Napokon boli vznesené výhrady týkajúce sa kontroly kvality lieku počas výroby, čo viedlo k nejasnostiam v súvislosti s nečistotami, ktorým by pacienti mohli byť vystavení.

Hoci s bezpečnosťou lieku boli spojené menšie výhrady, výbor mal počas opätovného preskúmania stále závažné výhrady týkajúce sa prínosov lieku. Okrem toho stále neboli vyriešené problémy týkajúce sa kontroly kvality počas výroby. Výbor CHMP preto dospel k záveru, že prínosy lieku Masican neprevyšujú jeho riziká a trval na predchádzajúcom odporúčaní, aby bolo povolenie na uvedenie na trh zamietnuté.

Aké sú dôsledky zamietnutia pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúšaní lieku alebo na programoch na použitie lieku v naliehavých prípadoch?

Ak ste účastníkom klinického skúšania alebo programu na použitie lieku v naliehavých prípadoch a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.