



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

15. septembra 2017  
EMA/599464/2017  
EMA/H/C/004159

## Otázky a odpovede

---

# Zamietnutie povolenia na uvedenie na trh pre liek Masipro (masitinib)

## Výsledok opätovného preskúmania

Dňa 18. mája 2017 prijal Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) negatívne stanovisko odporúčajúce zamietnutie povolenia na uvedenie na trh pre liek Masipro, ktorý je určený na liečbu systémovej mastocytózy. O povolenie požiadala spoločnosť AB Science.

Spoločnosť požiadala o opätovné preskúmanie pôvodného stanoviska. Po zvážení odôvodnenia tejto žiadosti výbor CHMP opätovne preskúmal stanovisko a 14. septembra 2017 potvrdil zamietnutie povolenia na uvedenie na trh.

## Čo je liek Masipro?

Masipro je liek, ktorý obsahuje účinnú látku masitinib. Mal byť dostupný vo forme tabliet.

## Aké bolo predpokladané použitie lieku Masipro?

Liek Masipro mal byť používaný na liečbu dospelých so systémovou mastocytózou, ochorením, pri ktorom je v koži, kostiach a rôznych telesných orgánoch príliš veľa mastocytov (typu bielych krviniek), čo spôsobuje príznaky, ako je napríklad svrbenie kože, návaly horúčavy, palpitácie, odpadnutie, bolesť kostí, únava, vracanie, hnačka a depresia.

Liek Masipro bol 16. novembra 2004 označený za liek na ojedinelé ochorenia (liek, ktorý sa používa pri zriedkavých ochoreniach) na liečbu mastocytózy. Viac informácií o tomto vzácnom ochorení nájdete [tu](#).

## Akým spôsobom liek Masipro účinkuje?

Účinná látka lieku Masipro, masitinib, je inhibítor tyrozínkinázy. To znamená, že blokuje enzýmy známe ako tyrozínkinázy, ktoré sa môžu nachádzať v niektorých receptoroch mastocytov vrátane tých, ktoré sa podieľajú na stimulácii rastu a delení buniek. Predpokladá sa, že blokádou týchto enzýmov pripravok Masipro pomáha spomaľovať rast mastocytov.



## **Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?**

Žiadateľ predložil údaje z hlavnej štúdie zahŕňajúcej 135 pacientov so systémovou mastocytózou, ktorí mali závažné príznaky zahŕňajúce aspoň jeden z týchto štyroch: svrbenie, návaly horúčavy, depresia a únava. V štúdií sa porovnával liek Masipro s placebom (zdanlivým liekom). Hlavným meradlom účinnosti bolo zlepšenie ktoréhokoľvek z týchto štyroch príznakov počas prvých 24 týždňov liečby.

## **Aké boli hlavné výhrady výboru CHMP, ktoré viedli k zamietnutiu?**

Výbor CHMP mal pochybnosti týkajúce sa spoľahlivosti výsledkov štúdie, pretože rutinné inšpekcie správnej klinickej praxe na mieste štúdie odhalili závažné nedostatky v spôsobe, akým bola štúdia vedená. V priebehu štúdie navyše došlo k významnejším zmenám v jej pláne, čo sťažovalo interpretáciu výsledkov. Napokon boli obmedzené aj údaje o bezpečnosti lieku a existovali obavy týkajúce sa vedľajších účinkov lieku, vrátane neutropénie (nízkej hladiny bielych krviniek) a škodlivých účinkov na kožu a pečeň, ktoré boli dôležité najmä preto, lebo liek sa mal užívať dlhodobo.

Výbor CHMP preto dospel k názoru, že prínosy lieku Masipro neprevyšujú jeho riziká, a odporučil zamietnuť povolenie na uvedenie na trh.

Po opätovnom preskúmaní sa potvrdilo zamietnutie výborom CHMP.

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

Spoločnosť informovala výbor CHMP, že zamietnutie nemá žiadne dôsledky pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú klinických skúšaní alebo programov na použitie lieku Masipro v naliehavých prípadoch.

Ak sa zúčastňujete na klinickom skúšaní alebo na programe na použitie lieku v naliehavých prípadoch a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.