



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Vprašanja in odgovori

Zavrnitev vloge za dovoljenje za promet z zdravilom Masican (masitinib)

Izid ponovnega pregleda

Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) je 21. novembra 2013 sprejel negativno mnenje in priporočil zavrnitev vloge za dovoljenje za promet z zdravilom Masican, namenjenim za zdravljenje malignega gastrointestinalnega stromalnega tumorja (gastrointestinal stromal tumour – GIST). Vlogo za dovoljenje je predložila družba AB Science.

Predlagatelj je zahteval ponoven pregled mnenja. Po preučitvi podlage za to zahtevo je CHMP ponovno pregledal prvotno mnenje in dne 20. marca 2014 potrdil zavrnitev vloge za dovoljenje za promet z zdravilom.

Kaj je zdravilo Masican?

Masican je zdravilo proti raku, ki vsebuje zdravilno učinkovino masitinib. Na voljo naj bi bilo v obliki tablet.

Za kaj naj bi se zdravilo Masican uporabljalo?

Zdravilo Masican naj bi se uporabljalo za zdravljenje gastrointestinalnega stromalnega tumorja, raka želodca in črevesja pri odraslih, pri katerih raka ni mogoče kirurško odstraniti ali pa se je razširil in se stanje slabša kljub zdravljenju z imatinibom, drugim zdravilom za zdravljenje te vrste raka.

Zdravilo Masican je bilo dne 21. decembra 2004 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za zdravljenje malignega gastrointestinalnega stromalnega tumorja. Več informacij je na voljo [tukaj](#).



Kako naj bi zdravilo Masican delovalo?

Zdravilna učinkovina zdravila Masican, masitinib, je zaviralec tirozin-kinaze. To pomeni, da zavira specifične encime, imenovane tirozin-kinaze. Ti encimi so na nekaterih receptorjih na površini rakavih celic, med drugim tudi na receptorjih, ki pospešujejo nenadzorovano deljenje celic. Z zaviranjem teh receptorjev lahko zdravilo Masican pomaga pri nadzoru celične delitve ter s tem upočasni rast raka.

Katero dokumentacijo je družba predložila v podporo svoji vlogi?

Predlagatelj je predstavil rezultate glavne študije pri 44 bolnikih z gastrointestinalnim stromalnim tumorjem, ki ga ni bilo mogoče kirurško odstraniti ali se je razširil in je bil odporen na zdravljenje z imatinibom. Študija je vključevala skupino bolnikov, ki so prejeli zdravljenje z zdravilom Masican, in eno skupino, ki je prejela zdravljenje s sunitinibom, drugim zdravilom iz istega razreda. To je bila „študija II. faze“, raziskovalna študija, s katero so želeli preveriti, ali bi bilo zdravilo vredno nadalje raziskati. Glavno merilo učinkovitosti je bilo preživetje brez napredovanja bolezni (čas, ki so ga bolniki preživeli brez poslabšanja bolezni).

Kateri so bili glavni zadržki, zaradi katerih je CHMP predlagal zavrnitev dovoljenja za promet?

V času prvotne ocene je imel CHMP pomislek, da študija ni bila zasnovana za primerjavo zdravila Masican s sunitinibom in da je bilo težko interpretirati rezultate. Čeprav se je zdelo, da so bolniki iz skupine, ki je prejela zdravljenje z zdravilom Masican, živeli dlje od bolnikov, ki so prejeli zdravljenje s sunitinibom, možnosti, da je bila to zgolj naključna ugotovitev, ni bilo mogoče izključiti zaradi raziskovalne narave študije in zaradi pomanjkanja drugih podpornih dokazov. Zato je Odbor sklenil, da ni bilo zadostnih podatkov za določitev koristi zdravila Masican.

CHMP je prav tako izrazil pomislek, da so bili podatki o varnosti na voljo samo za nekaj bolnikov, ki so prejeli zdravljenje z zdravilom Masican v predlaganem odmerku, in da to ni omogočilo ustrezne ocene neželenih učinkov zdravila. Poleg tega so se pojavili pomisleki o nadzoru kakovosti zdravila med proizvodnjo, kar je vodilo do negotovosti glede nečistot, ki bi jim bili izpostavljeni bolniki.

Med ponovnim pregledom, pri katerem varnost zdravila ni bila v ospredju, je imel Odbor še vedno velike pomisleke glede koristi zdravila. Poleg tega je bilo še vedno nekaj nerešenih težav, povezanih z nadzorom kakovosti pri njegovi izdelavi. Odbor CHMP je zato zaključil, da koristi zdravila Masican niso večje od z njim povezanih tveganj, in ostal pri svojem prejšnjem priporočilu, da naj se dovoljenje za promet zanj zavrne.

Kakšne so posledice zavrnitve za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih ali programih sočutne uporabe zdravila?

Če ste vključeni v klinično preskušanje ali program sočutne uporabe in potrebujete več informacij o zdravljenju, se obrnite na zdravnika, ki vam je predpisal zdravljenje.