



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Frågor och svar

Avslag på ansökan om godkännande för försäljning av Masipro (masitinib)

Resultat av förnyad prövning

Den 18 maj 2017 antog kommittén för humanläkemedel (CHMP) ett negativt yttrande med rekommendationen att avslå ansökan om godkännande för försäljning av läkemedlet Masipro, som var avsett för behandling av systemisk mastocytos. Företaget som ansökte om godkännandet är AB Science.

Företaget begärde förnyad prövning av det ursprungliga ställningstagandet. Efter att ha övervägt grunderna för begäran omprövade CHMP ställningstagandet och den 14 september 2017 bekräftade CHMP avslaget på ansökan om godkännande för försäljning.

Vad är Masipro?

Masipro är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen masitinib. Det skulle finnas som tabletter.

Vad skulle Masipro användas för?

Masipro skulle användas för att behandla vuxna med systemisk mastocytos, en sjukdom som kännetecknas av för många mastceller (en typ av vita blodkroppar) i huden, skelettet och olika kroppsorgan, vilket ger symtom såsom hudklåda, blodvallningar, palpitationer, svimning, skelettmärta, trötthet, kräkningar, diarré och depression.

Masipro klassificerades den 16 november 2004 som ett säräkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) avsett att användas vid mastocytos. Mer information om klassificeringen som säräkemedel finns [här](#).



Hur verkar Masipro?

Den aktiva substansen i Masipro, masitinib, är en tyrosinkinashämmare. Det betyder att den blockerar enzymer som kallas tyrosinkinaser och finns i vissa receptorer i mastcellerna, även sådana som deltar i stimuleringen av cellernas tillväxt och delning. Genom att blockera dessa enzymer tros Masipro sakta ner tillväxten av mastcellerna.

Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Sökanden lämnade in data från en huvudstudie på 135 patienter med systemisk mastocytos som hade allvarliga symtom, inräknat minst ett av följande fyra symtom: klåda, blodvallningar, depression och trötthet. I studien jämfördes Masipro med placebo (overksam behandling). Huvudmättet på effekt baserades på förbättringar av något av dessa fyra symtom under de första 24 veckornas behandling.

Vad var det som främst fick CHMP att rekommendera avslag av ansökan?

CHMP hyste betänkligheter om studieresultatens tillförlitlighet till följd av en rutininspektion avseende god klinisk sed vid studieplatserna som avslöjade allvarliga brister i det sätt som studien hade utförts på. Dessutom hade studiens utformning genomgått stora förändringar under studiens förlopp, vilket gjorde resultaten svårtolkade. Slutligen fanns det begränsade uppgifter om läkemedlets säkerhet liksom farhågor över läkemedlet biverkningar, inräknat neutropeni (låga antal vita blodkroppar) och skadliga hud- och levereffekter, som var särskilt relevanta eftersom läkemedlet skulle användas långsiktigt.

CHMP ansåg att nyttan med Masipro inte övervägde riskerna och rekommenderade därför att ansökan om godkännande för försäljning skulle avslås.

CHMP:s avslag bekräftades efter omprövning.

Vilka följder får återkallandet för patienter som deltar i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program?

Företaget informerade CHMP om att beslutet inte får några följder för patienter i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program.

Om du deltar i en klinisk prövning eller ett s.k. compassionate use-program och behöver mer information om din behandling kan du kontakta den läkare som ger dig läkemedlet.