



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18 октомври 2024 г.
EMA/472277/2024
EMA/H/C/005897

Отказ за издаване на разрешение за употреба на Мазитиниб AB Science (masitinib mesilate)

Отказът е потвърден след преразглеждането

След като преразгледа първоначалното си становище, Европейската агенция по лекарствата потвърди препоръката си за отказ на разрешение за употреба на лекарството Мазитиниб AB Science, лекарство, предназначено за лечение на амиотрофична латерална склероза (АЛС).

Агенцията издава становището си след преразглеждане на 17 октомври 2024 г. Първоначалното становище на Агенцията е издадено на 27 юни 2024 г. Фирмата, подала заявление за разрешаване на Мазитиниб AB Science, е AB Science.

Какво представлява Мазитиниб AB Science и за какво е предназначено?

Мазитиниб AB Science е разработен като лекарство за лечение на възрастни с АЛС. Предназначен е да се използва в комбинация с рилузол (друго лекарство против АЛС). АЛС е прогресивно заболяване на нервната система, при което нервните клетки в главния и гръбначния мозък, които контролират съзнателното движение, постепенно се увреждат, което води до загуба на мускулна функция и парализа.

Мазитиниб AB Science съдържа активното вещество мазитиниб месилат (masitinib mesilate) и е трябвало да се предлага под формата на таблетки.

Мазитиниб AB Science е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 29 август 2016 г. за лечение на АЛС. Допълнителна информация за определянето на лекарството сирак можете да намерите на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161722.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Как действа Мазитиниб AB Science?

Активното вещество в Мазитиниб AB Science, мазитиниб месилат, е инхибитор на протеин киназа. Това означава, че блокира специфични ензими, известни като протеин кинази. Блокирането на тези ензими засяга активността на някои клетки на имунната система (естествените защитни сили на организма), участващи във възпалението. Като блокира тези ензими, мазитиниб месилат се е очаквало да намали възпалението и да защити нервните клетки от увреждане и по този начин да забави влошаването на симптомите на АЛС.

Какво е представила фирмата в подкрепа на своето заявление?

Фирмата е представила резултати от основно проучване, обхващащо 394 възрастни с АЛС. На пациентите се прилага Мазитиниб AB Science или плацебо (сляпо лечение) два пъти дневно в продължение на 48 седмици. Всички пациенти получават също рилузол. Основната мярка за ефективност е промяната в резултата по ALSFRS-R за период от 48 седмици — мярка за симптомите на АЛС, които влияят на ежедневния живот на пациентите.

Какви са основните причини за отказа за издаване на разрешение за употреба?

Към момента на първоначалната оценка Агенцията счита, че данните от проучването не са надеждни, тъй като констатациите от инспекциите на добрата клинична практика (ДКП), координирани от ЕМА и други регулаторни органи, са установили проблеми с провеждането на проучването, които не могат да бъдат решени в достатъчна степен от фирмата. В допълнение ползите от Мазитиниб AB Science не могат да бъдат убедително доказани; проучването не установява разлика между лекарството и плацебо в основната мярка за ефективност за общата популация на проучването и има няколко методологични проблема.

Тези опасения не се променят след преразглеждане на предоставените данни и след консултация с група експерти по неврология, както и с представители на пациентите. При вземане на окончателното си решение Агенцията е разгледала също информацията, споделена от организациите на пациентите (т.нар. интервенции на трети страни).

Поради това Агенцията потвърждава становището си, че ползите от Мазитиниб AB Science не надвишават рисковете и препоръчва отказ на разрешение за употреба.

Какви са последствията от отказа за пациентите, участващи в клинични изпитвания?

Фирмата е уведомила Агенцията, че няма последствия за пациентите в клинични изпитвания с Мазитиниб AB Science.

Ако участвате в клинично изпитване и се нуждаете от повече информация за вашето лечение, говорете с вашия лекар, провеждащ клиничното изпитване.