

EMA/207380/2018 Rev. 2
EMA/H/C/004398
1. června 2018

Zamítnutí registrace přípravku Alsitek (masitinib)

Dne 18. dubna 2018 přijal Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) záporné stanovisko ve věci registrace léčivého přípravku Alsitek určeného k léčbě amyotrofické laterální sklerózy a doporučil registraci tohoto přípravku zamítnout.

Žádost o registraci podala společnost AB Science. Společnost požádala o přezkoumání stanoviska, později však svou žádost stáhla.

Co je Alsitek?

Alsitek je léčivý přípravek, který obsahuje léčivou látku masitinib. Měl být k dispozici ve formě tablet.

K čemu měl být přípravek Alsitek používán?

Přípravek Alsitek měl být používán k léčbě amyotrofické laterální sklerózy. Amyotrofická laterální skleróza je progresivní onemocnění nervového systému, kdy se funkce nervových buněk v mozku a míše, které ovládají volní pohyby, postupně zhoršuje a způsobuje ztrátu svalové funkce a paralýzu (ochrnutí). Přípravek Alsitek měl být užíván v kombinaci s riluzolem, dalším léčivým přípravkem k léčbě amyotrofické laterální sklerózy.

Přípravek Alsitek byl označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“ dne 29. srpna 2016. Přípravek měl být určen k léčbě amyotrofické laterální sklerózy. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete [zde](#).

Jak přípravek Alsitek působí?

Předpokládá se, že přípravek Alsitek působí prostřednictvím omezení aktivity mikroglíí, hlavních imunitních (obránných) buněk v mozku, a mastocytů, což je typ bílých krvinek. Mikroglie a mastocyty mohou hrát roli při zánětu a poškození nervů u pacientů s amyotrofickou laterální sklerózou. Očekává se, že snížením jejich aktivity léčivý přípravek zmírní zánět a poškození nervů, čímž u pacienta zpomalí zhoršování příznaků.

Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Žadatel předložil výsledky jedné hlavní studie zahrnující 394 pacientů s amyotrofickou laterální sklerózou, u kterých byl přípravek Alsitek porovnáván s placebem (neúčinným přípravkem), přičemž oba přípravky byly podávány spolu s riluzolem. V této studii byla hlavním měřítkem účinnosti změna v příznacích u pacientů po 48 týdnech léčby, která byla hodnocena pomocí standardní stupnice pro amyotrofickou laterální sklerózu.

Jaké byly hlavní důvody, na jejichž základě výbor CHMP registraci zamítl?

Výbor CHMP dospěl k závěru, že hlavní studie u pacientů s amyotrofickou laterální sklerózou neprokázala účinnost přípravku Alsitek z hlediska zpomalení progresu onemocnění. Přestože byl u skupiny pacientů, jejichž onemocnění se zhoršovalo normální rychlostí ve srovnání s těmi, jejichž onemocnění se zhoršovalo rychle, zaznamenán příznivý účinek na příznaky, výbor CHMP usoudil, že tento způsob klasifikace pacientů je svévolný a nezohledňuje klinickou praxi. Navíc nebyl důvod, proč by léčivý přípravek účinkoval u jedné skupiny pacientů a u ostatních nikoliv.

Inspekce dvou míst, kde byla studie prováděna, kromě toho prokázala nedostatky ve způsobu provádění studie, což zpochybňuje integritu údajů.

V neposlední řadě byl výbor znepokojen tím, jakým způsobem byly zpracovány údaje pacientů, kteří léčbu ukončili předčasně, což mohlo mít za následek zkreslení výsledků ve prospěch přípravku Alsitek.

Výbor CHMP proto dospěl k závěru, že studie neposkytla spolehlivé důkazy o přínosech přípravku Alsitek, a doporučil registraci tohoto přípravku zamítnout.

Jaké jsou důsledky zamítnutí registrace pro pacienty zařazené do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Alsitek podáván v rámci léčby z humanitních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use)?

Společnost informovala výbor CHMP, že zamítnutí registrace nemá žádné důsledky pro pacienty, kteří jsou zařazení do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Alsitek podáván v rámci léčby z humanitních důvodů.

Pokud jste zařazení do klinické studie nebo do programu, v němž je přípravek Alsitek podáván v rámci léčby z humanitních důvodů, a potřebujete získat více informací o své léčbě, obraťte se na lékaře, který vám přípravek podává.