



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18. října 2024
EMA/472277/2024
EMA/H/C/005897

Zamítnutí registrace přípravku Masitinib AB Science (masitinib-mesylát)

Přezkoumání potvrdilo zamítnutí registrace.

Po přezkoumání svého původního stanoviska potvrdila Evropská agentura pro léčivé přípravky své doporučení zamítnout registraci přípravku Masitinib AB Science, což je léčivý přípravek určený k léčbě amyotrofické laterální sklerózy.

Agentura vydala své stanovisko po přezkoumání dne 17. října 2024. Své původní stanovisko vydala dne 27. června 2024. Žádost o registraci přípravku Masitinib AB Science podala společnost AB Science.

Co je přípravek Masitinib AB Science a k čemu měl být používán?

Přípravek Masitinib AB Science byl vyvinut jako léčivý přípravek k léčbě dospělých s amyotrofickou laterální sklerózou. Byl určen k použití v kombinaci s riluzolem (jiným léčivým přípravkem 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, což způsobuje ztrátu funkce svalů a paralýzu (ochrnutí).

Přípravek Masitinib AB Science obsahuje léčivou látku masitinib-mesylát a měl být dostupný ve formě tablet.

Přípravek Masitinib AB Science byl dne 29. srpna 2016 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“ k léčbě amyotrofické laterální sklerózy. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na internetových stránkách agentury na adrese 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



Jak přípravek Masitinib AB Science působí?

Léčivá látka v přípravku Masitinib AB Science, masitinib-mesylát, je inhibitor proteinkinázy. To znamená, že blokuje specifické enzymy známé jako proteinkinázy. Blokování těchto enzymů ovlivňuje činnost určitých buněk imunitního systému (přirozeného obranného systému těla), které se podílejí na zánětlivém procesu. Očekávalo se, že blokováním těchto enzymů masitinib-mesylát zmírní zánět a ochrání nervové buňky před poškozením, čímž zpomalí zhoršování příznaků amyotrofické laterální sklerózy.

Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Společnost předložila výsledky hlavní studie, do které bylo zařazeno 394 dospělých s amyotrofickou laterální sklerózou. Pacientům byl podáván buď přípravek Masitinib AB Science, nebo placebo (neúčinný přípravek), a to dvakrát denně po dobu 48 týdnů. Všichni pacienti užívali rovněž riluzol. Hlavním měřítkem účinnosti byla změna skóre ALSFRS-R v průběhu 48 týdnů, což je měřítko příznaků amyotrofické laterální sklerózy, které ovlivňují každodenní život pacientů.

Jaké byly hlavní důvody zamítnutí registrace?

V době výchozího hodnocení agentura dospěla k závěru, že údaje ze studie nejsou spolehlivé, neboť zjištění inspekci správné klinické praxe koordinovaných agenturou EMA a dalšími regulačními orgány identifikovala problémy s prováděním studie, které společnost nemohla dostatečně vyřešit. Kromě toho nebylo možné přesvědčivě prokázat přínosy přípravku Masitinib AB Science – studie totiž nezjistila žádný rozdíl mezi tímto léčivým přípravkem a placebem, pokud jde o hlavní měřítko účinnosti u celkové populace ve studii, a vykazovala několik metodických problémů.

Tyto obavy po přezkoumání předložených údajů a po konzultaci skupiny odborníků v oblasti neurologie, jakož i zástupců pacientů, přetrvávaly. Při přijímání konečného rozhodnutí vzala agentura v úvahu také informace sdílené organizacemi pacientů (tzv. intervence třetích stran).

Agentura proto trvá na svém stanovisku, že přínosy přípravku Masitinib AB Science nepřevyšují jeho rizika, a doporučila jeho registraci zamítnout.

Jaké jsou důsledky zamítnutí registrace pro pacienty zařazené do klinických studií?

Společnost informovala agenturu, že zamítnutí registrace nemá žádné důsledky pro pacienty, kteří jsou v současné době zařazení do klinických studií s přípravkem Masitinib AB Science.

Pokud jste zařazení do klinické studie a potřebujete získat více informací o své léčbě, obraťte se na svého lékaře v rámci klinické studie.