

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

## Afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse for Alsitek (masitinib)

Den 18. april 2018 vedtog Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP) en negativ udtalelse om anbefaling af afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse for lægemidlet Alsitek, der er beregnet til behandling af amyotrofisk lateralsklerose (ALS).

Den virksomhed, der har indgivet ansøgningen, er AB Science. AB Science havde anmodet om en revurdering af udtalelsen, men har senere trukket denne anmodning tilbage.

### Hvad er Alsitek?

Alsitek er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof masitinib. Det skulle have været leveret som tabletter.

### Hvad forventedes Alsitek anvendt til?

Alsitek skulle anvendes til behandling af amyotrofisk lateralsklerose (ALS). ALS er en fremadskridende sygdom i nervesystemet, hvor nervecellerne i hjernen og rygmærken, der kontrollerer frivillige bevægelser, gradvist forringes. Det medfører tab af muskelfunktion og lammelse. Alsitek skulle anvendes i kombination med riluzol, et andet lægemiddel mod ALS.

Alsitek blev udpeget som lægemiddel til sjældne sygdomme den 29. august 2016 til behandling af ALS. Yderligere oplysninger om lægemidler til sjældne sygdomme findes [her](#).

### Hvordan virker Alsitek?

Alsitek menes at virke ved at reducere aktiviteten af mikroglia-celler, de vigtigste immunceller i hjernen, og mastceller, en type hvide blodlegemer. Mikroglia-celler og mastceller spiller muligvis en rolle ved betændelsestilstande og nerveskader hos patienter med ALS. Ved at reducere disse cellers aktivitet forventes lægemidlet at reducere betændelsestilstandene og nerveskaderne og derved bremse forværringen af patientens symptomer.

## **Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden til støtte for sin ansøgning?**

Ansøgeren fremlagde resultaterne af et hovedstudie omfattende 394 patienter med ALS, hvor Alsitek blev sammenlignet med placebo (en uvirksom behandling), begge taget sammen med riluzol. Virkningen blev hovedsagelig bedømt på ændringen i patienternes symptomer efter 48 ugers behandling vurderet på en standardskala for ALS.

## **Hvori bestod CHMP's vigtigste betænkeligheder, der førte til afslaget?**

CHMP vurderede, at hovedstudiet hos patienter med ALS ikke havde påvist, at Alsitek var effektivt til at bremse sygdommens udvikling. Selvom der sås en positiv effekt på symptomerne i den gruppe patienter, hvis sygdom forværredes i normalt tempo, sammenholdt med de patienter, hvis sygdom forværredes hurtigt, vurderede CHMP, at denne måde at klassificere patienterne på var vilkårlig og ikke afspejlede klinisk praksis. Endvidere var det ikke begrundet, hvorfor lægemidlet skulle virke hos én gruppe af patienter og ikke hos andre.

En inspektion på to af forsøgscentrene viste desuden mangler i den måde, hvorpå studiet blev gennemført, hvorfor dataenes integritet kunne betvivles.

Endelig vurderede udvalget, at den måde, hvorpå data fra patienter, der ophørte med behandlingen, blev håndteret, var problematisk, da den kunne medføre bias i resultaterne til fordel for Alsitek.

CHMP var derfor af den opfattelse, at studiet ikke i tilstrækkelig grad dokumenterede fordelene ved Alsitek, og anbefalede afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse.

## **Hvilke konsekvenser har afslaget for patienter, der deltager i kliniske studier eller i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse?**

Virksomheden har informeret CHMP om, at beslutningen ikke vil få konsekvenser for patienter, der deltager i kliniske studier eller i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse.

Hvis du deltager i et klinisk studie eller i et program for anvendelse med særlig udleveringstilladelse og har behov for yderligere oplysninger om din behandling, kan du kontakte den læge, der behandler dig.