



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse for Masitinib AB Science (masitinibmesilat)

Revurdering bekræfter afslag

Efter revurdering af sin oprindelige udtalelse har Det Europæiske Lægemiddelagentur bekræftet sin anbefaling om at give afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse for lægemidlet Masitinib AB Science, et lægemiddel til behandling af amyotrofisk lateralsklerose (ALS).

Agenturet afgav sin udtalelse den 17. oktober 2024 efter at have foretaget en revurdering. Agenturet havde fremsat sin oprindelige udtalelse den 27. juni 2024. Virksomheden, der ansøgte om godkendelse af Masitinib AB Science, er AB Science.

Hvad er Masitinib AB Science, og hvad forventedes det anvendt til?

Masitinib AB Science blev udviklet som et lægemiddel til behandling af voksne med ALS. Det var meningen, at det skulle anvendes i kombination med riluzol (et andet lægemiddel mod ALS). ALS er en fremadskridende sygdom i nervesystemet, hvor nerveceller i hjernen og rygmærven, der kontrollerer frivillige bevægelser, gradvist forringes. Det medfører tab af muskelfunktion og lammelse.

Masitinib AB Science indeholder det aktive stof masitinibmesilat og skulle have været markedsført som tabletter.

Masitinib AB Science blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 29. august 2016 til behandling af ALS. Yderligere information om udpegelsen som lægemiddel til sjældne sygdomme findes på agenturets websted: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161722.

Hvordan virker Masitinib AB Science?

Det aktive stof i Masitinib AB Science, masitinibmesilat, er en proteinkinasehæmmer. Det betyder, at det blokerer specifikke enzymer kaldet proteinkinaser. Blokeringen af disse enzymer påvirker aktiviteten af visse celler i immunforsvaret, som spiller en rolle ved betændelsestilstande. Ved at blokere disse enzymer forventedes masitinibmesilat at nedbringe betændelsestilstande og beskytte nerveceller mod skader og dermed bremse forværringen af ALS-symptomer.



Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen?

Virksomheden fremlagde resultaterne af et hovedstudie blandt 394 voksne med ALS. Patienterne fik Masitinib AB Science eller placebo (en uvirksom behandling) to gange dagligt i 48 uger. Samtlige patienter fik også riluzol. Virkningen blev hovedsagelig bedømt på ændringen over 48 uger i ALSFRS-R-score, et mål for ALS-symptomer med en indvirkning på patienternes hverdag.

Hvad var hovedårsagerne til afslaget på ansøgningen om markedsføringstilladelse?

På tidspunktet for den oprindelige vurdering var agenturet af den opfattelse, at dataene fra studiet ikke var pålidelige, da resultaterne af inspektioner af god klinisk praksis koordineret af EMA og andre tilsynsmyndigheder havde identificeret problemer med studiets gennemførelse, som virksomheden ikke kunne afhjælpe i tilstrækkelig grad. Desuden kunne fordelene ved Masitinib AB Science ikke fastslås på overvisende måde. I studiet blev der ikke fundet nogen forskel mellem lægemidlet og placebo i hovedeffekt målet for den samlede studiepopulation, og der var flere metodologiske betænkeligheder.

Disse betænkeligheder blev ikke bortvejret efter revurdering af de forelagte data og efter høring af en gruppe eksperter inden for neurologi samt patientrepræsentanter. For at nå sin endelige afgørelse tog agenturet også hensyn til indlæg fra patientorganisationer (såkaldte tredjepartsinterventioner).

Agenturet fastholdt derfor sin udtalelse om, at fordelene ved Masitinib AB Science ikke opvejede risiciene, og anbefalede afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse.

Har dette afslag betydning for patienter, der deltager i kliniske forsøg?

Virksomheden informerede agenturet om, at der ikke er konsekvenser for patienter, der deltager i kliniske forsøg med Masitinib AB Science.

Hvis du deltager i et klinisk forsøg og har behov for yderligere information om din behandling, kan du kontakte den læge, der behandler dig.