



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Versagung der Genehmigung für das Inverkehrbringen von Masitinib AB Science (Masitinib Mesilat)

Überprüfung bestätigt Versagung

Nach der Überprüfung ihres ursprünglichen Gutachtens hat die Europäische Arzneimittel-Agentur ihre Empfehlung zur Versagung der Genehmigung für das Inverkehrbringen für das Arzneimittel Masitinib AB Science, ein Arzneimittel zur Behandlung der amyotrophen Lateralsklerose (ALS), bestätigt.

Die Agentur gab ihre Stellungnahme nach einer erneuten Prüfung am 17. Oktober 2024 ab. Ihr ursprüngliches Gutachten hatte die Agentur am 27. Juni 2024 vorgelegt. Das Unternehmen, das die Zulassung von Masitinib AB Science beantragt hat, ist AB Science.

Was ist Masitinib AB Science und wofür sollte es angewendet werden?

Masitinib AB Science wurde als Arzneimittel zur Behandlung von Erwachsenen mit ALS entwickelt. Es sollte in Kombination mit Riluzol (einem anderen Arzneimittel gegen ALS) angewendet werden. ALS ist eine fortschreitende Erkrankung des Nervensystems, bei der eine allmähliche Degeneration der Nervenzellen im Gehirn und im Rückenmark, welche die bewussten Bewegungen steuern, stattfindet, was zum Verlust der Muskelfunktion und zu Lähmungen führt.

Masitinib AB Science enthält den Wirkstoff Masitinib Mesilat und sollte als Tabletten erhältlich sein.

Masitinib AB Science wurde am 29. August 2016 als „Orphan-Arzneimittel“ (Arzneimittel für seltene Leiden) zur Behandlung von ALS ausgewiesen. Weitere Informationen zu der Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie hier: 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



Wie wirkt Masitinib AB Science?

Der Wirkstoff in Masitinib AB Science, Masitinib Mesilat, ist ein Proteinkinase-Inhibitor. Dies bedeutet, dass er bestimmte Enzyme blockiert, die als Proteinkinasen bezeichnet werden. Das Blockieren dieser Enzyme beeinträchtigt die Aktivität bestimmter Zellen des Immunsystems (der natürlichen Abwehr des Körpers), die an Entzündungen beteiligt sind. Durch das Blockieren dieser Enzyme sollte Masitinib Mesilat die Entzündung verringern und die Nervenzellen vor Schädigung schützen, wodurch das Fortschreiten der ALS-Symptome verlangsamt würde.

Welche Unterlagen hat das Unternehmen zur Stützung seines Antrags vorgelegt?

Das Unternehmen legte Ergebnisse aus einer Hauptstudie vor, an der 394 Erwachsene mit ALS teilnahmen. Die Patienten erhielten 48 Wochen lang zweimal täglich Masitinib AB Science oder Placebo (eine Scheinbehandlung). Alle Patienten erhielten auch Riluzol. Der Hauptindikator für die Wirksamkeit war die Veränderung des ALSFRS-R-Scores über 48 Wochen, ein Maß für ALS-Symptome, die sich auf das tägliche Leben der Patienten auswirken.

Was waren die Hauptgründe für die Versagung der Genehmigung für das Inverkehrbringen?

Zum Zeitpunkt der Erstbewertung war die Agentur der Auffassung, dass die Studiendaten nicht zuverlässig waren, da Erkenntnisse aus Inspektionen zur Überprüfung der Einhaltung der guten klinischen Praxis (GCP), die von der EMA und anderen Regulierungsbehörden koordiniert wurden, Probleme bei der Durchführung der Studie ergaben, die vom Unternehmen nicht ausreichend behoben werden konnten. Darüber hinaus konnte der Nutzen von Masitinib AB Science nicht überzeugend nachgewiesen werden; die Studie ergab keinen Unterschied zwischen dem Arzneimittel und Placebo im Hauptindikator für die Wirksamkeit für die gesamte Studienpopulation und wies mehrere methodische Probleme auf.

Diese Bedenken haben sich nach einer erneuten Prüfung der vorgelegten Daten und nach Konsultation einer Gruppe von Sachverständigen für Neurologie sowie Patientenvertretern nicht geändert. Bei ihrer endgültigen Entscheidung berücksichtigte die Agentur auch die von Patientenorganisationen geteilten Informationen (sogenannte Interventionen Dritter).

Daher hielt die Agentur an ihrem Gutachten fest, dass der Nutzen von Masitinib AB Science gegenüber den Risiken nicht überwiegt, und empfahl die Versagung der Genehmigung für das Inverkehrbringen.

Hat die Versagung Konsequenzen für Patienten, die derzeit an klinischen Studien teilnehmen?

Das Unternehmen teilte der Agentur mit, dass sich keine Konsequenzen für Patienten ergeben, die derzeit an klinischen Studien mit Masitinib AB Science teilnehmen.

Sollten Sie an einer klinischen Studie teilnehmen und weitere Informationen zu Ihrer Behandlung benötigen, wenden Sie sich bitte an Ihren Prüfarzt.