



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18 Οκτωβρίου 2024
EMA/472277/2024
EMA/H/C/005897

Απόρριψη της αίτησης χορήγησης άδειας κυκλοφορίας για το Masitinib AB Science (μεσιλική μαστινίμνη)

Επιβεβαίωση της απόρριψης μετά από επανεξέταση

Αφού επανεξέτασε την αρχική του γνώμη, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων επιβεβαίωσε τη σύστασή του περί άρνησης χορήγησης άδειας κυκλοφορίας για το φάρμακο Masitinib AB Science, φάρμακο που προορίζεται για τη θεραπεία της πλάγια μυατροφική σκλήρυνση (ALS).

Ο Οργανισμός εξέδωσε γνώμη κατόπιν επανεξέτασης στις 17 Οκτωβρίου 2024. Η αρχική γνώμη του Οργανισμού είχε εκδοθεί στις 27 Ιουνίου 2024. Η εταιρεία που υπέβαλε αίτηση για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το Masitinib AB Science είναι η AB Science.

Τι είναι το Masitinib AB Science και σε ποιες περιπτώσεις επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί;

Το Masitinib AB Science αναπτύχθηκε ως φάρμακο για τη θεραπεία ενηλίκων με ALS. Επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί σε συνδυασμό με ριλουζόλη (ένα άλλο φάρμακο για την πλάγια μυατροφική σκλήρυνση). Η πλάγια μυατροφική σκλήρυνση είναι μια προοδευτική νόσος του νευρικού συστήματος κατά την οποία τα νευρικά κύτταρα του εγκεφάλου και της σπονδυλικής στήλης που ελέγχουν την εκούσια κίνηση εκφυλίζονται σταδιακά, προκαλώντας απώλεια της μυϊκής λειτουργίας και παράλυση.

Το Masitinib AB Science περιέχει τη δραστική ουσία μεσιλική μαστινίμνη και επρόκειτο να διατεθεί υπό μορφή δισκίων.

Το Masitinib AB Science χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες νόσους) στις 29 Αυγούστου 2016 για τη θεραπεία της ALS. Περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση 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



Πώς δρα το Masitinib AB Science;

Η δραστική ουσία του Masitinib AB Science, η μεσιλική μασιτινίμμη, είναι αναστολέας πρωτεϊνικής κινάσης. Αυτό σημαίνει ότι αναστέλλει συγκεκριμένα ένζυμα, γνωστά ως πρωτεϊνικές κινάσες. Η αναστολή της δράσης αυτών των ενζύμων επηρεάζει τη δραστηριότητα ορισμένων κυττάρων του ανοσοποιητικού συστήματος (της φυσικής άμυνας του οργανισμού) που ευθύνονται για τη φλεγμονή. Αναστέλλοντας τη δράση των εν λόγω ενζύμων, η μεσιλική μασιτινίμμη αναμενόταν να μειώσει τη φλεγμονή και να προστατεύσει τα νευρικά κύτταρα από τη βλάβη, επιβραδύνοντας κατ' αυτόν τον τρόπο την επιδείνωση των συμπτωμάτων της ALS.

Τι είδους τεκμηρίωση υπέβαλε η παρασκευάστρια εταιρεία προς στήριξη της αίτησής της;

Η εταιρεία παρουσίασε τα αποτελέσματα μιας κύριας μελέτης στην οποία μετείχαν 394 ενήλικες με ALS. Στους ασθενείς χορηγήθηκε Masitinib AB Science ή εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία) δύο φορές την ημέρα για 48 εβδομάδες. Όλοι οι ασθενείς έλαβαν επίσης ριλουζόλη. Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν η μεταβολή στη βαθμολογία ALSFRS-R σε διάστημα 48 εβδομάδων, ένας δείκτης μέτρησης των συμπτωμάτων της ALS που επηρεάζουν την καθημερινή ζωή των ασθενών.

Ποιοι ήταν οι βασικοί λόγοι απόρριψης της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας;

Κατά την αρχική αξιολόγηση, ο Οργανισμός έκρινε ότι τα δεδομένα της μελέτης δεν ήταν αξιόπιστα, καθώς τα ευρήματα των επιθεωρήσεων ορθής κλινικής πρακτικής (ΟΚΠ) που συντονίστηκαν από τον EMA και άλλες ρυθμιστικές αρχές είχαν εντοπίσει ζητήματα σχετικά με τη διεξαγωγή της μελέτης τα οποία δεν μπορούσαν να αντιμετωπιστούν επαρκώς από την εταιρεία. Επιπλέον, τα οφέλη του Masitinib AB Science δεν μπορούσαν να καταδειχθούν με πειστικό τρόπο. Από τη μελέτη δεν διαπιστώθηκαν διαφορές στον βασικό δείκτη μέτρησης της αποτελεσματικότητας μεταξύ του φαρμάκου και του εικονικού φαρμάκου για το σύνολο του πληθυσμού μελέτης, ενώ υπήρξαν και διάφορα μεθοδολογικά ζητήματα.

Οι ανησυχίες αυτές δεν άλλαξαν μετά την επανεξέταση των στοιχείων που παρασχέθηκαν και κατόπιν διαβούλευσης με ομάδα εμπειρογνομόνων στον τομέα της νευρολογίας, καθώς και με εκπροσώπους ασθενών. Πριν από την τελική του απόφαση, ο Οργανισμός έλαβε επίσης υπόψη πληροφορίες που κοινοποιήθηκαν από οργανώσεις ασθενών (τις αποκαλούμενες παρεμβάσεις τρίτων).

Ως εκ τούτου, ο Οργανισμός ενέμεινε στη γνώμη του ότι τα οφέλη του Masitinib AB Science δεν υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την απόρριψη της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας.

Επηρεάζει η απόρριψη της αίτησης τους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές;

Η εταιρεία ενημέρωσε τον Οργανισμό ότι δεν υπάρχουν συνέπειες για τους ασθενείς που συμμετέχουν επί του παρόντος σε κλινικές δοκιμές με το Masitinib AB Science.

Εάν συμμετέχετε σε κλινική δοκιμή και χρειάζεστε περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία σας, συμβουλευθείτε τον γιατρό που σας παρακολουθεί στο πλαίσιο της δοκιμής.