



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/207380/2018 Рев. 2
EMA/H/C/004398
1 юни 2018 г.

Отказ на разрешение за употреба за Alsitek (мазитиниб/masitinib)

На 18 април 2018 г. Комитетът по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) прие отрицателно становище, препоръчващо отказ за издаване на разрешение за употреба на лекарствения продукт Alsitek, предназначен за лечение на амиотрофична латерална склероза (ALS).

Фирмата, която е подала заявление за разрешение, е AB Science. Тя е поискала преразглеждане на становището, но по-късно оттегля искането си.

Какво представлява Alsitek?

Alsitek е лекарство, което съдържа активното вещество мазитиниб (masitinib). Трябвало е да се предлага под формата на таблетки.

За какво се очаква да се използва Alsitek?

Alsitek се очаква да се използва за лечение на амиотрофична латерална склероза (ALS). ALS е прогресивно заболяване на нервната система, при което нервните клетки в главния и гръбначния мозък, които контролират съзнателното движение, постепенно се влошават, което води до загуба на мускулна функция и парализа. Alsitek е трябвало да се използва в комбинация с рилузол, друго лекарство за лечение на ALS.

Alsitek е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, което се използва при редки болести) за лечение на ALS на 29 август 2016 г. Допълнителна информация за определянето на лекарството сирак можете да намерите [ТУК](#).

Как действа Alsitek?

Смята се, че Alsitek действа, като намалява активността на микроглия, основните имунни (защитни) клетки на главния мозък и мастните клетки — вид бели кръвни клетки. Микроглия и мастните клетки могат да играят роля във възпалението и увреждането на нервите при пациенти



с ALS. Като понижава активността им, се очаква лекарството да намали възпалението и увреждането на нервите, забавяйки по този начин влошаването на симптомите на пациента.

Какво е представила фирмата в подкрепа на своето заявление?

Заявителят представя резултатите от едно основно проучване, включващо 394 пациенти с ALS, при които Alsitek е сравнен с плацебо (сляпо лечение), като двете лекарства са приемани заедно с рилузол. Основната мярка за ефективност е промяната в симптомите при пациентите след 48 седмици, която се оценява като се използва стандартна скала за ALS.

Какви са основните опасения на CHMP, довели до отказа?

CHMP заключава, че основното проучване при пациенти с ALS не показва, че Alsitek е ефективен при забавяне прогресията на заболяването. Въпреки че при групата пациенти, чието заболяване се влошава с нормална скорост, в сравнение с тези, чието заболяване се влошава бързо, се наблюдава положителен ефект върху симптомите, CHMP счита, че този начин на класифициране на пациентите е произволен и не отразява клиничната практика. В допълнение, няма причина лекарството да действа при една група пациенти, а при други не.

Освен това, проверка в два от центровете по проучването показва недостатъци в начина, по който е проведено проучването, което поставя под съмнение достоверността на данните.

Накрая Комитетът изразява загриженост относно начина на обработване на данните от пациенти, които се оттеглят от лечението, което би могло да доведе до отклонение на резултатите в полза на Alsitek.

Поради това CHMP изразява становището, че проучването не предоставя надеждни доказателства за ползите на Alsitek, и препоръчва отказ за издаване на разрешение за употреба.

Какви са последствията от отказа за пациентите, участващи в клинични изпитвания или програми с милосърдна цел?

Фирмата е уведомила CHMP, че няма последствия за пациентите, включени в клинични изпитвания или в програми с милосърдна употреба.

Ако участвате в клинично изпитване или в програма с милосърдна цел и се нуждаете от повече информация за Вашето лечение, свържете се с лекаря, който Ви го е предписал.