



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/207380/2018 Αναθ. 2
EMA/H/C/004398
1 Ιουνίου 2018

Απόρριψη της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το Alsitek (μασιτινίμμη)

Στις 18 Απριλίου 2018, η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) εξέδωσε αρνητική γνώμη, εισηγούμενη την απόρριψη της αίτησης χορήγησης άδειας κυκλοφορίας για το φαρμακευτικό προϊόν Alsitek, το οποίο προορίζεται για τη θεραπεία της πλάγιας μυατροφικής σκλήρυνσης (ALS).

Η εταιρεία που υπέβαλε αίτηση για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας είναι η AB Science. Η εταιρεία αιτήθηκε επανεξέταση της γνώμης αλλά στη συνέχεια απέσυρε το αίτημά της.

Τι είναι το Alsitek;

Το Alsitek είναι φάρμακο που περιέχει τη δραστική ουσία μασιτινίμμη. Επρόκειτο να διατεθεί υπό μορφή δισκίων.

Σε ποιες περιπτώσεις επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί το Alsitek;

Το Alsitek επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί για τη θεραπεία της πλάγιας μυατροφικής σκλήρυνσης (ALS). Η ALS είναι μια προοδευτικά εξελισσόμενη νόσος του νευρικού συστήματος, στην οποία τα νευρικά κύτταρα του εγκεφάλου και της σπονδυλικής στήλης τα οποία ελέγχουν τις εκούσιες κινήσεις εκφυλίζονται σταδιακά προκαλώντας απώλεια της μυϊκής λειτουργίας και παράλυση. Το Alsitek επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί σε συνδυασμό με ριλουζόλη, ένα άλλο φάρμακο για την ALS.

Το Alsitek χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο το οποίο χορηγείται για σπάνιες νόσους) στις 29 Αυγούστου 2016, για τη θεραπεία της ALS. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε [εδώ](#).

Πώς δρα το Alsitek;

Το Alsitek θεωρείται ότι δρα μειώνοντας τη δραστηριότητα της μικρογλοίας, ήτοι των βασικών ανοσοποιητικών (αμυντικών) κυττάρων του εγκεφάλου, και των μαστοκυττάρων, ενός τύπου λευκών αιμοσφαιρίων. Η μικρογλοία και τα μαστοκύτταρα ενδέχεται να διαδραματίζουν κάποιον ρόλο στη φλεγμονή και τη βλάβη των νεύρων σε ασθενείς με ALS. Μειώνοντας τη δραστηριότητά τους, το



φάρμακο αναμένεται να μειώσει τη φλεγμονή και τη βλάβη στα νεύρα, επιβραδύνοντας με αυτόν τον τρόπο την επιδείνωση των συμπτωμάτων των ασθενών.

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

Ο αιτών παρουσίασε τα αποτελέσματα μίας βασικής μελέτης στην οποία μετείχαν 394 ασθενείς με ALS, όπου το Alsitek συγκρίθηκε με εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία), τα οποία αμφότερα λαμβάνονταν μαζί με ριλουζόλη. Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν η αλλαγή στα συμπτώματα των ασθενών έπειτα από 48 εβδομάδες θεραπείας, όπως αξιολογήθηκε με τη χρήση τυποποιημένης κλίμακας για την ALS.

Ποιες είναι οι σημαντικότερες ανησυχίες οι οποίες οδήγησαν στην απόρριψη της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας από την CHMP;

Η CHMP κατέληξε στο συμπέρασμα ότι η βασική μελέτη σε ασθενείς με ALS δεν κατέδειξε ότι το Alsitek είναι αποτελεσματικό στην επιβράδυνση της εξέλιξης της νόσου. Αν και διαπιστώθηκε θετική επίδραση στα συμπτώματα στην ομάδα των ασθενών των οποίων η νόσος επιδεινώθηκε με φυσιολογικό ρυθμό σε σύγκριση με αυτούς των οποίων η νόσος επιδεινώθηκε ραγδαία, η CHMP έκρινε ότι αυτός ο τρόπος ταξινόμησης των ασθενών ήταν αυθαίρετος και δεν ανταποκρινόταν στην κλινική πρακτική. Επιπλέον, δεν υπήρχε λόγος το φάρμακο να δρα σε μία ομάδα ασθενών και όχι σε άλλες.

Επιπροσθέτως, η επιθεώρηση δύο εγκαταστάσεων στις οποίες διενεργήθηκε η μελέτη κατέδειξε ελλείψεις στον τρόπο διεξαγωγής της μελέτης, γεγονός που θέτει υπό αμφισβήτηση την ακεραιότητα των δεδομένων.

Τέλος, η επιτροπή εξέφρασε τις ανησυχίες της σχετικά με τον τρόπο χειρισμού των δεδομένων των ασθενών οι οποίοι διέκοψαν τη θεραπεία, κάτι το οποίο θα μπορούσε να επηρεάσει τα αποτελέσματα υπέρ του Alsitek.

Κατά συνέπεια, η CHMP διατύπωσε τη γνώμη ότι η μελέτη δεν παρείχε αξιόπιστα αποδεικτικά στοιχεία όσον αφορά τα οφέλη του Alsitek και εισηγήθηκε την άρνηση της χορήγησης άδειας κυκλοφορίας.

Ποιες είναι οι επιπτώσεις από την απόρριψη της αίτησης στους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές ή προγράμματα παρηγορητικής χρήσης;

Η εταιρεία ενημέρωσε την CHMP ότι η απόρριψη της αίτησης δεν έχει συνέπειες για τους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές ή προγράμματα παρηγορητικής χρήσης.

Εάν συμμετέχετε σε κλινική δοκιμή ή πρόγραμμα παρηγορητικής χρήσης και χρειάζεστε περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία σας, συμβουλευθείτε τον γιατρό που σας τη χορηγεί.