



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/207380/2018 Rev. 2
EMA/H/C/004398
1 de junio de 2018

Denegación de la autorización de comercialización de Alsitek (masitinib)

El 18 de abril de 2018, el Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) emitió un dictamen negativo en el que recomendaba que se denegara la autorización de comercialización del medicamento Alsitek, que iba a utilizarse para el tratamiento de la esclerosis lateral amiotrófica (ELA).

La empresa que solicitó la autorización es AB Science. Había solicitado la revisión del dictamen, pero posteriormente retiró su solicitud.

¿Qué es Alsitek?

Alsitek es un medicamento que contiene el principio activo masitinib. Iba a presentarse en forma de comprimidos.

¿A qué uso estaba destinado Alsitek?

Alsitek iba a utilizarse para el tratamiento de la esclerosis lateral amiotrófica (ELA). La ELA es una enfermedad progresiva del sistema nervioso en la que las neuronas del cerebro y la médula espinal encargadas de controlar el movimiento voluntario experimentan un deterioro progresivo, lo que provoca la pérdida de la función muscular y parálisis. Alsitek iba a utilizarse en combinación con riluzol, otro medicamento para la ELA.

Alsitek fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 29 de agosto de 2016 para el tratamiento de la ELA. Puede encontrarse más información sobre la designación de medicamento huérfano [aquí](#).

¿Cómo actúa Alsitek?

Se cree que Alsitek actúa reduciendo la actividad de la microglía, que contiene las principales células inmunitarias (de defensa) del cerebro, y de los mastocitos, un tipo de glóbulo blanco. Es probable que la microglía y los mastocitos contribuyan a la inflamación y la lesión de los nervios en los pacientes con



ELA. Al reducir su actividad, se espera que el medicamento disminuya la inflamación y la lesión de los nervios, frenando así el empeoramiento de los síntomas del paciente.

¿Qué documentación presentó la empresa en apoyo de su solicitud?

El solicitante presentó los resultados de un estudio principal que contó con 394 pacientes con ELA en el que se comparó Alsitek con un placebo (un tratamiento ficticio), ambos administrados junto con riluzol. El criterio principal de valoración de la eficacia fue la variación de los síntomas de los pacientes después de 48 semanas de tratamiento, que se evaluó mediante una escala normalizada para la ELA.

¿Cuáles fueron las principales reservas que llevaron al CHMP a recomendar que se denegara la autorización de comercialización?

El CHMP concluyó que el estudio principal en pacientes con ELA no había demostrado que Alsitek fuera eficaz para frenar la progresión de la enfermedad. Aunque se observó un efecto positivo sobre los síntomas en el grupo de pacientes cuya enfermedad empeoró a un ritmo normal en comparación con los que experimentaron un empeoramiento rápido, el CHMP consideró que esta forma de clasificar a los pacientes era arbitraria y no reflejaba la práctica clínica. Además, no existía ninguna razón que explicase que el medicamento funcionara en un grupo de pacientes y no en otros.

Por otro lado, una inspección realizada en dos de los centros del estudio reveló deficiencias en la forma de llevar a cabo el mismo que ponían en duda la integridad de los datos.

Por último, al Comité le preocupaba la forma de tratar los datos de los pacientes que interrumpieron el tratamiento, lo que podría haber introducido un sesgo en los resultados a favor de Alsitek.

Por consiguiente, el CHMP dictaminó que el estudio no aportaba pruebas fiables de los beneficios de Alsitek y recomendó que se denegara la autorización de comercialización.

¿Qué consecuencias tiene esta denegación para los pacientes que participan en los ensayos clínicos o programas de uso compasivo?

La empresa informó al CHMP de que no hay consecuencias para los pacientes que participan en ensayos clínicos o programas de uso compasivo.

Si participa usted en un ensayo clínico o programa de uso compasivo y precisa información adicional acerca de su tratamiento, póngase en contacto con el médico que le administra el medicamento.