



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/207380/2018 Rev. 2  
EMA/H/C/004398  
1. juuni 2018

## Alsiteki (masitiniib) müügiloa andmisest keeldumine

18. aprillil 2018 võttis inimravimite komitee vastu negatiivse arvamuse, soovitades keelduda andmast ravimi Alsitek müügiluba. Ravimit kavatseti kasutada amüotroofilise lateraalskleroosi (ALSi) raviks.

Müügiluba taotles ettevõtte AB Science. Ettevõtte taotles arvamuse taasläbivaatamist, kuid võttis oma taotluse hiljem tagasi.

### Mis on Alsitek?

Alsitek on ravim, mis sisaldab toimeainena masitiniibi. Seda kavatseti turustada tablettidena.

### Milleks kavatseti Alsiteki kasutada?

Alsiteki kavatseti kasutada amüotroofilise lateraalskleroosi (ALS) raviks. ALS on progresseeruv närvisüsteemi haigus, mille korral tahtlikke liigutusi reguleerivad pea- ja seljaaju närvirakud järkjärgult degenerereeruvad, põhjustades lihaskontraktsiooni vähenemist ja paralüüsi. Alsiteki kavatseti kasutada koos rilusooliga, mis on samuti ALSi ravim.

Alsitek nimetati 29. augustil 2016 ALSi harvikravimiks (ravim, mida kasutatakse harvaesinevate haiguste korral). Lisateave harvikravimiks nimetamise kohta on [siin](#).

### Kuidas Alsitek toimib?

Alsiteki arvatav toimemehhanism seisneb mikroglia rakkude (aju peamised immuunrakud) ja nuumrakkude (teatud tüüpi valgeverelibled) aktiivsuse vähendamises. Mikroglia rakud ja nuumrakud osalevad protsessides, mis tekitavad ALSiga patsientidel põletikku ja närvikahjustust. Nende rakkude aktiivsuse vähendamisega vähendab ravim arvatavalt põletikku ja närvikahjustust, aeglustades patsiendi sümptomite süvenemist.



## **Mis dokumendid esitas ettevõtte oma taotluse toetuseks?**

Taotleja esitas andmed ühest põhiuuringust, milles osales 394 ALSiga patsienti. Selles uuringus võrreldi Alsiteki platseeboga (näiv ravim), kusjuures mõlemat manustati koos rilusooliga. Efektiivsuse põhinäitaja oli patsientide sümptomites pärast 48-nädalast ravi toimunud muutus, mida hinnati ALSi standardse hindamisskaala abil.

## **Mis olid peamised põhjused, mille tõttu soovitas inimravimite komitee müügiloa andmisest keelduda?**

Inimravimite komitee järelduse kohaselt ei tõendatud ALSiga patsientide põhiuuringus Alsiteki efektiivsust haiguse progresseerumise aeglustamisel. Ehkki nende patsientide rühmas, kelle haigus progresseerus normaalses tempos, täheldati võrreldes kiiresti progresseeruva haigusega patsientidega sümptomitele avalduvat soodsat toimet, oli inimravimite komitee arvamusel, et selline patsientide liigitamise meetod on meelevaldne ega vasta kliinilisele praktikale. Peale selle ei näinud inimravimite komitee põhjust, miks peaks ravim toimima ühes patsiendirühmas ja teises mitte.

Samuti tuvastati kahes uuringukeskuses tehtud inspeksioonide käigus uuringu korralduse puudused, mis seavad kahtluse alla andmete usaldusväärsuse.

Komitee väljendas kahtlust ka ravi katkestanud patsientide andmete töötlemise viisi suhtes, mis võis kallutada tulemusel Alsiteki kasuks.

Seetõttu oli inimravimite komitee seisukohal, et uuring ei paku Alsiteki kasulikkuse kohta usaldusväärseid tõendeid, ning soovitas müügiloa andmisest keelduda.

## **Kuidas mõjutab keeldumine praegu kliinilistes uuringutes või eriloaga kasutamise programmides osalevaid patsiente?**

Ettevõtte teatas inimravimite komiteele, et taotluse tagasivõtmine ei mõjuta kliinilistes uuringutes või eriloaga kasutamise programmides osalevaid patsiente.

Kui osalete ravimi kliinilises uuringus või eriloaga kasutamise programmis ja vajate ravi kohta lisateavet, pöörduge arsti poole, kes teile ravi määras.