



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Odbijanje odobrenja za stavljanje u promet lijeka Alsitek (masitinib)

Dana 18. travnja 2018. Odbor za lijekove za humanu uporabu (CHMP) donio je negativno mišljenje i preporučio odbijanje odobrenja za stavljanje u promet lijeka Alsitek, koji je namijenjen liječenju amiotrofične lateralne skleroze (ALS).

Zahtjev za izdavanje odobrenja podnijela je tvrtka AB Science. Tvrtka je zatražila preispitivanja prvotnog mišljenja, ali kasnije je povukla zahtjev.

Što je Alsitek?

Alsitek je lijek koji sadrži djelatnu tvar masitinib. Trebao je biti dostupan u tabletama.

Za što se Alsitek trebao primjenjivati?

Lijek Alsitek trebao se primjenjivati u liječenju amiotrofične lateralne skleroze (ALS). ALS je progresivna bolest živčanog sustava kod koje živčane stanice u mozgu i leđnoj moždini koje kontroliraju dobrovoljno kretanje postupno odumiru, uzrokujući gubitak mišićne funkcije i paralizu. Alsitek se trebao primjenjivati u kombinaciji s riluzolom, koji je također lijek za ALS.

Alsitek je uvršten na popis lijekova za rijetke bolesti dana 29. kolovoza 2016. za liječenje ALS-a. Više informacija o statusu lijeka za liječenje rijetkih bolesti možete naći [ovdje](#).

Kako djeluje Alsitek?

Smatra se da Alsitek djeluje na način da smanjuje aktivnost stanica mikroglije, koje su glavne (obrambene) stanice mozga, i mastocita, vrste bijelih krvnih stanica. Stanice mikroglije i mastociti imaju ulogu u upalama i oštećenju živaca u bolesnika s ALS-om. Očekuje se da će lijek smanjivanjem njihove aktivnosti smanjiti upalu i oštećenje živaca, čime će usporiti pogoršavanje bolesnikovih simptoma.



Što je tvrtka dostavila u prilog svojem zahtjevu?

Podnositelj zahtjeva dostavio je podatke iz glavnog ispitivanja koje je obuhvaćalo 394 bolesnika oboljelih od ALS-a kod kojih je lijek Alsitek uspoređen s placebo (prividno liječenje), pri čemu su se oba uzimala s riluzolom. Glavno mjerilo djelotvornosti bila promjena simptoma u bolesnika nakon 48 tjedana, koja je procijenjena na temelju standardne ljestvice za ALS.

Koji su bili glavni razlozi za zabrinutost CHMP-a koji su doveli do odbijanja zahtjeva?

CHMP je zaključio da glavnim ispitivanjem provedenim na bolesnicima oboljelima od ALS-a nije dokazano da je Alsitek djelotvoran u usporavanju progresije bolesti. Iako je pozitivan učinak na simptome uočen u skupini bolesnika čija se bolest pogoršavala uobičajenom brzinom u odnosu na bolesnike čija je bolest brzo napredovala, CHMP je smatrao da je taj način razvrstavanja bolesnika proizvoljan i ne odražava kliničku praksu. Osim toga, nije bilo razloga zašto bi lijek djelovao u jednoj skupini bolesnika, ali ne i kod drugih.

Nadalje, inspekcija na dvjema lokacijama ispitivanja pokazala je nedostatke u načinu na koji se vodilo ispitivanje, što je stvorilo sumnju u pogledu cjelovitosti podataka.

Konačno, Odbor je izrazio zabrinutost zbog načina na koji se rukovalo podacima bolesnika koji su se povukli iz liječenja, što je moglo utjecati na rezultate u korist lijeka Alsitek.

Stoga je CHMP smatrao da ispitivanjem nisu izneseni pouzdani dokazi o koristima lijeka Alsitek te je preporučio odbijanje izdavanja odobrenja za stavljanje u promet.

Koje posljedice ima ovo odbijanje zahtjeva za bolesnike u kliničkim ispitivanjima ili u programima milosrdnog davanja lijekova?

Tvrtka je obavijestila CHMP da nema posljedica za bolesnike koji su uključeni u klinička ispitivanja ili programe milosrdnog davanja lijekova.

Ako sudjelujete u kliničkom ispitivanju ili programu milosrdnog davanja lijekova te vam je potrebno više informacija o liječenju, obratite se liječniku koji vas liječi.