



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/207380/2018 Rev. 2
EMA/H/C/004398
1° giugno 2018

Rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio per Alsitek (masitinib)

Il 18 aprile 2018 il Comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) ha adottato un parere negativo, raccomandando il rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio per il medicinale Alsitek, destinato al trattamento della sclerosi laterale amiotrofica (SLA).

La ditta che ha presentato la domanda di autorizzazione è AB Science. Aveva chiesto un riesame del parere, ma in seguito ha ritirato la sua richiesta.

Che cos'è Alsitek?

Alsitek è un medicinale che contiene il principio attivo masitinib. Avrebbe dovuto essere disponibile in compresse.

Per che cosa avrebbe dovuto essere usato Alsitek?

Alsitek avrebbe dovuto essere usato per il trattamento della sclerosi laterale amiotrofica (SLA). La SLA è una malattia progressiva del sistema nervoso, in cui le cellule nervose del cervello e del midollo spinale che controllano il movimento volontario si deteriorano gradualmente, causando perdita della funzione muscolare e paralisi. Alsitek avrebbe dovuto essere usato in associazione a riluzolo, un altro medicinale per la SLA.

Il 29 agosto 2016 Alsitek è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) per il trattamento della SLA. Ulteriori informazioni sulla designazione di medicinale orfano sono disponibili [qui](#).

Come agisce Alsitek?

Si ritiene che Alsitek agisca riducendo l'attività delle cellule della microglia, le principali cellule immunitarie (di difesa) del cervello, e dei mastociti, un tipo di globuli bianchi. La microglia e i mastociti possono partecipare all'infiammazione e al danno ai nervi nei pazienti affetti da SLA. Riducendo la loro



attività, il medicinale dovrebbe attenuare l'infiammazione e il danno ai nervi, rallentando così il peggioramento dei sintomi del paziente.

Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

Il richiedente ha presentato i risultati di uno studio principale condotto su 394 pazienti affetti da SLA, in cui Alsitek è stato messo a confronto con placebo (un trattamento fittizio), entrambi assunti insieme a riluzolo. Il principale parametro dell'efficacia era la variazione dei sintomi dei pazienti dopo 48 settimane di trattamento, valutata mediante una scala standard per la SLA.

Quali sono stati i principali motivi che hanno indotto il CHMP a raccomandare il rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio?

Il CHMP ha concluso che lo studio principale condotto sui pazienti affetti da SLA non ha dimostrato l'efficacia di Alsitek nel rallentare la progressione della malattia. Sebbene sia stato osservato un effetto positivo sui sintomi nel gruppo di pazienti la cui malattia è peggiorata a un ritmo normale rispetto a coloro la cui malattia è peggiorata rapidamente, il CHMP ha ritenuto che questo modo di classificare i pazienti fosse arbitrario e non riflettesse la pratica clinica. Inoltre, non vi era alcuna ragione per cui il medicinale avrebbe agito su un gruppo di pazienti e non su altri.

Oltretutto, un'ispezione in due dei siti di studio ha evidenziato carenze nella modalità di conduzione dello stesso, che hanno sollevato dubbi sull'integrità dei dati.

Infine, il comitato era preoccupato riguardo alla gestione dei dati dei pazienti che si sono ritirati dal trattamento, che avrebbe potuto distorcere i risultati a favore di Alsitek.

Pertanto, il CHMP ha ritenuto che lo studio non avesse fornito prove attendibili sui benefici di Alsitek e ha raccomandato il rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio per il medicinale.

Quali sono le conseguenze del rifiuto per i pazienti inseriti in studi clinici o in programmi di uso compassionevole?

La ditta ha informato il CHMP che non vi sono conseguenze per i pazienti in studi clinici o programmi di uso compassionevole.

Le persone inserite in uno studio clinico o in un programma di uso compassionevole che abbiano bisogno di maggiori informazioni sul proprio trattamento possono consultare il medico che le sta trattando.