



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/207380/2018 Wersja 2  
EMA/H/C/004398  
1 czerwca 2018 r.

## Odmowa wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu dla produktu Alsitek (masytynib)

W dniu 18 kwietnia 2018 r. Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) wydał negatywną opinię, zalecając odmowę przyznania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu produktu leczniczego Alsitek, przeznaczonego do stosowania w leczeniu stwardnienia zanikowego bocznego (ALS).

Firmą ubiegającą się o dopuszczenie do obrotu jest AB Science. Firma zwróciła się o ponowne rozpatrzenie opinii, ale następnie wycofała swój wniosek.

### Czym jest Alsitek?

Alsitek to lek zawierający substancję czynną masytynib. Miał on być dostępny w postaci tabletek.

### W jakim celu miał być stosowany produkt Alsitek?

Alsitek miał być stosowany w leczeniu stwardnienia zanikowego bocznego (ALS). ALS jest postępującą chorobą układu nerwowego, w przebiegu której komórki nerwowe w mózgu i rdzeniu kręgowym, które kontrolują ruchy dowolne, ulegają stopniowemu uszkodzeniu, powodując utratę czynności mięśni i porażenie. Alsitek miał być stosowany w skojarzeniu z ryluzolem, innym lekiem przeciw ALS.

W dniu 29 sierpnia 2016 r. lek Alsitek uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w leczeniu ALS. Więcej informacji na temat uznania za lek sierocy można znaleźć [tutaj](#).

### Jak działa lek Alsitek?

Uważa się, że działanie leku Alsitek polega na zmniejszeniu aktywności mikrogleju, głównych komórek odpornościowych (obronnych) mózgu, oraz mastocytów (rodzaj krwinek białych). Mikroglej i mastocyty mogą odgrywać rolę w zapaleniu i uszkodzeniu nerwów u pacjentów z ALS. Przewiduje się, że poprzez zmniejszenie ich aktywności lek będzie powodował zmniejszenie zapalenia i uszkodzenia nerwów, opóźniając w ten sposób pogorszenie objawów u pacjenta.



## **Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?**

Wnioskodawca przedstawił wyniki jednego badania głównego z udziałem 394 pacjentów z ALS, w którym Alsitek porównywano z placebo (leczenie pozorowane), przy czym obydwa leki podawano wraz z ryluzolem. Głównym kryterium oceny skuteczności była zmiana objawów u pacjentów po 48 tygodniach, oceniana z wykorzystaniem standardowej skali oceny ALS.

## **Jakie były główne wątpliwości CHMP, które doprowadziły do odmowy?**

CHMP stwierdził, że w badaniu głównym u pacjentów z ALS nie wykazano skuteczności leku Alsitek w opóźnianiu progresji choroby. Pomimo pozytywnego wpływu na objawy obserwowanego w grupie pacjentów, u których choroba ulega pogorszeniu w normalnym tempie, w porównaniu z osobami, u których następuje szybkie pogorszenie choroby, CHMP uznał, że ten sposób klasyfikacji pacjentów jest nieuzasadniony i nie odzwierciedla praktyki klinicznej. Ponadto nie było powodu, dla którego lek miałby działać w jednej grupie pacjentów, a w innych nie.

Dodatkowo inspekcja w dwóch ośrodkach, w których prowadzono badanie, wykazała niedoskonałości w sposobie prowadzenia badania, co podaje w wątpliwość rzetelność danych.

Komitet miał wreszcie wątpliwości co do sposobu postępowania z danymi pochodzącymi od pacjentów, którzy przerwali leczenie, mogącego mieć wpływ na tendencyjność wyników na korzyść leku Alsitek.

Dlatego według CHMP nie wykazano, by badanie dostarczyło rzetelnych dowodów na korzyści wynikające ze stosowania produktu Alsitek, i Komitet zalecił odmowę przyznania pozwolenia na dopuszczenie go do obrotu.

## **Jakie są skutki tej odmowy dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych lub programach „leczenia ostatniej szansy”?**

Firma powiadomiła CHMP, że nie ma żadnych skutków dla pacjentów biorących udział w badaniach klinicznych ani programach „leczenia ostatniej szansy”.

W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych lub programie „leczenia ostatniej szansy” i potrzeby uzyskania dokładniejszych informacji o leczeniu należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym.