



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Refuzul autorizației de punere pe piață pentru Alsitek (masitinib)

La 18 aprilie 2018, Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) a adoptat un aviz negativ, recomandând refuzul autorizației de punere pe piață pentru medicamentul Alsitek, destinat tratamentului sclerozei laterale amiotrofice (SLA).

Compania care a solicitat autorizația este AB Science. Aceasta a solicitat o reexaminare a avizului, dar ulterior și-a retras cererea.

Ce este Alsitek?

Alsitek este un medicament care conține substanța activă masitinib. Medicamentul urma să fie disponibil sub formă de comprimate.

Pentru ce ar fi trebuit să se utilizeze Alsitek?

Alsitek ar fi trebuit să se utilizeze pentru tratarea sclerozei laterale amiotrofice (SLA). SLA este o boală progresivă a sistemului nervos, în care celulele nervoase din creier și din măduva spinării care controlează mișcarea voluntară se deteriorează treptat, cauzând pierderea funcției musculare și paralizie. Alsitek urma să fie utilizat în asociere cu riluzol, un alt medicament pentru SLA.

Alsitek a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) pentru tratamentul SLA la 29 august 2016. Informații suplimentare privind desemnarea ca medicament orfan sunt disponibile [aici](#).

Cum acționează Alsitek?

Se consideră că Alsitek acționează reducând activitatea microgliilor, principalele celule imunitare (de apărare) ale creierului, și a mastocitelor, un tip de globule albe din sânge. Microgliile și mastocitele ar putea avea un rol în inflamarea și deteriorarea nervilor la pacienții cu SLA. Reducând activitatea lor, se preconizează că medicamentul reduce inflamarea și deteriorarea nervilor, încetinind astfel agravarea simptomelor pacientului.



Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?

Solicitantul a prezentat rezultatele unui studiu principal la care au participat 394 de pacienți cu SLA, în care Alsitek a fost comparat cu placebo (un preparat inactiv), ambele fiind administrate în asociere cu riluzol. Principala măsură a eficacității a fost modificarea simptomelor pacienților după 48 de săptămâni de tratament, evaluată cu ajutorul unei scale standard pentru SLA.

Care au fost principalele motive de îngrijorare ale CHMP care au condus la refuz?

CHMP a concluzionat că studiul principal efectuat la pacienți cu SLA nu a demonstrat că Alsitek este eficace în încetinirea progresiei bolii. Deși la grupul de pacienți la care boala se agrava într-un ritm normal s-a observat un efect pozitiv asupra simptomelor, spre deosebire de cei la care boala se agrava rapid, CHMP a considerat că această modalitate de clasificare a pacienților este arbitrară și nu reflectă practica clinică. În plus, nu există niciun motiv pentru care medicamentul să dea rezultate la un grup de pacienți, iar la alții nu.

Mai mult, în urma unei inspecții la două dintre locurile de desfășurare a studiului s-au constatat deficiențe în modul de realizare a acestuia, ceea ce a pus sub semnul întrebării integritatea datelor.

În sfârșit, comitetul a avut motive de îngrijorare cu privire la modul în care au fost gestionate datele obținute de la pacienții care s-au retras de la tratament, acesta putând să fi înclinat rezultatele în favoarea Alsitek.

Prin urmare, CHMP a considerat că studiul nu a furnizat dovezi de încredere cu privire la beneficiile Alsitek și a recomandat refuzul autorizației de punere pe piață.

Care sunt consecințele acestui refuz pentru pacienții implicați în studii clinice sau în programe de uz compasional?

Compania a informat CHMP că nu există consecințe pentru pacienții implicați în studii clinice sau în programe de uz compasional.

Dacă participați la un studiu clinic sau la un program de uz compasional și aveți nevoie de informații suplimentare despre tratamentul dumneavoastră, adresați-vă medicului care vă administrează acest medicament.