



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/207380/2018 rev. znenie 2  
EMA/H/C/004398  
1. jún 2018

## Zamietnutie povolenia na uvedenie na trh pre liek Alsitek (masitinib)

Dňa 18. apríla 2018 prijal Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) negatívne stanovisko, v ktorom sa odporúča zamietnuť povolenie na uvedenie na trh pre liek Alsitek, ktorý je určený na liečbu porúch amytrfickej laterálnej sklerózy (ALS).

O povolenie požiadala spoločnosť AB Science. Spoločnosť požiadala o opätovné preskúmanie stanoviska, ale neskôr svoju žiadosť stiahla.

### Čo je Alsitek?

Alsitek je liek, ktorý obsahuje účinnú látku masitinib. Liek mal byť dostupný vo forme tabliet.

### Aké bolo predpokladané použitie lieku Alsitek?

Liek Alsitek sa mal používať na liečbu amytrfickej laterálnej sklerózy (ALS). ALS je progresívne ochorenie nervového systému, pri ktorom nervové bunky v mozgu a mieche, ktoré riadia mimovoľný pohyb, postupne degenerujú, čo spôsobuje stratu svalovej funkcie a paralýzu. Liek Alsitek sa mal používať v kombinácii s ďalším liekom na ALS, riluzolom.

Liek Alsitek bol 29. augusta 2016 označený ako liek na zriedkavé choroby (liek, ktorý sa používa pri zriedkavých chorobách) na liečbu ALS. Viac informácií o označovaní liekov ako lieky na zriedkavé choroby sa nachádza [tu](#).

### Akým spôsobom liek Alsitek účinkuje?

Predpokladá sa, že liek Alsitek účinkuje tak, že znižuje aktivitu mikroglií, hlavných imunitných (obranných) buniek v mozgu, a mastocytov, druhu bielych krviniek. Mikroglie a mastocyty sa môžu podieľať na zápale a poškodení nervov u pacientov s ALS. Predpokladá sa, že znížením ich aktivity liek znižuje zápal a poškodenie nervov, čo spomalí zhoršovanie príznakov pacienta.



## **Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?**

Žiadateľ predložil výsledky jednej hlavnej štúdie zahŕňajúcej 394 pacientov s ALS, v ktorej sa liek Alsitek porovnával s placebom (zdanlivým liekom), pričom sa oba užívali spolu s riluzolom. Hlavným meradlom účinnosti bola zmena príznakov u pacientov po 48 týždňoch, ktorá sa hodnotila pomocou štandardnej stupnice pre ALS.

## **Aké boli hlavné výhrady výboru CHMP, ktoré viedli k zamietnutiu?**

Výbor CHMP dospel k záveru, že v hlavnej štúdii sa u pacientov s ALS nepreukázalo, že liek Alsitek je účinný pri spomalení progresie ochorenia. Hoci sa pozoroval pozitívny účinok na príznaky v skupine pacientov, u ktorých sa ochorenie zhoršovalo normálnou rýchlosťou v porovnaní s pacientmi, u ktorých sa ochorenie zhoršovalo rýchlo, výbor CHMP usúdil, že tento spôsob klasifikácie pacientov je svojvoľný a neodrzkaľuje klinickú prax. Takisto neexistoval žiadny dôvod, prečo by mal liek účinkovať v jednej skupine pacientov a v iných skupinách nie.

Okrem toho, pri kontrole na dvoch pracoviskách štúdie sa preukázali nedostatky v spôsobe vedenia štúdie, čo spochybňuje integritu údajov.

Výbor mal nakoniec výhrady v súvislosti so spracovaním údajov od pacientov, ktorí odstúpili od liečby, čo mohlo ovplyvniť výsledky v prospech lieku Alsitek.

Výbor CHMP preto dospel k názoru, že štúdia neposkytuje spoľahlivé dôkazy o prínosoch lieku Alsitek a odporučil zamietnuť povolenie na uvedenie lieku na trh.

## **Aké sú dôsledky tohto zamietnutia pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúšaniach alebo na programoch na použitie lieku v naliehavých prípadoch?**

Spoločnosť informovala výbor CHMP, že zamietnutie nemá žiadne dôsledky pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúšaniach alebo na programoch na použitie lieku v naliehavých prípadoch.

Ak sa zúčastňujete na klinickom skúšaní alebo na programe na použitie lieku v naliehavých prípadoch a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.