



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zavrnitev vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Alsitek (masitinib)

Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) je v svojem negativnem mnenju z dne 18. aprila 2018 priporočil zavrnitev vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Alsitek, namenjenim zdravljenju amiotrofične lateralne skleroze (ALS).

Vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom je predložila družba AB Science. Zahtevala je ponoven pregled menja, vendar je pozneje to zahtevo umaknila.

Kaj je zdravilo Alsitek?

Zdravilo Alsitek vsebuje učinkovino masitinib. Na voljo naj bi bilo v obliki tablet.

Za kaj naj bi se zdravilo Alsitek uporabljalo?

Zdravilo Alsitek naj bi se uporabljalo za zdravljenje amiotrofične lateralne skleroze (ALS). ALS je napredujoča bolezen živčnega sistema, pri kateri živčne celice v možganih in hrbtenjači, ki nadzorujejo prostovoljno gibanje, postopoma propadajo, kar povzroči izgubo delovanja mišic in paralizo. Zdravilo Alsitek naj bi se uporabljalo v kombinaciji z riluzolom, drugim zdravilom za zdravljenje ALS.

Zdravilo Alsitek je bilo 29. avgusta 2016 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih boleznih) za zdravljenje ALS. Več informacij o zdravilih sirotah je na voljo [tukaj](#).

Kako zdravilo Alsitek deluje?

Zdravilo Alsitek naj bi delovalo tako, da zmanjša delovanje mikroglia, glavne imunske (obrambne) možganske celice, in mastocitov, vrste belih krvničk. Mikroglia in mastociti bi lahko bili vpleteni pri vnetjih in poškodbah živcev pri bolnikih z ALS. Zdravilo naj bi z zmanjšanjem njihovega delovanja zmanjšalo vnetja in poškodbe živcev, s tem pa upočasnilo slabšanje bolnikovih simptomov.



Katero dokumentacijo je družba predložila v podporo svoji vlogi?

Predlagatelj je predstavil rezultate ene glavne študije, v katero je bilo vključenih 394 bolnikov z ALS in v kateri so zdravilo Alsitek primerjali s placebo (zdravilom brez učinkovine), pri čemer so bolniki zdravilo ali placebo jemali skupaj z riluzolom. V tej študiji je bilo glavno merilo učinkovitosti sprememba simptomov pri bolnikih po 48 tednih zdravljenja, ocenjena s standardno lestvico za ALS.

Kateri so bili glavni zadržki, zaradi katerih je odbor CHMP predlagal zavrnitev dovoljenja za promet?

Odbor CHMP je zaključil, da se pri glavni študiji pri bolnikih z ALS ni pokazalo, da je zdravilo Alsitek učinkovito pri upočasnjevanju napredovanja bolezni. Čeprav so opazili pozitiven učinek na simptome pri skupini bolnikov, pri katerih se je bolezen slabšala z normalno hitrostjo, v primerjavi s skupino bolnikov, pri katerih se je bolezen slabšala hitro, je presodil, da je tak način razvrščanja bolnikov neutemeljen in ne odraža klinične prakse. Poleg tega ni bilo razloga, zakaj bi zdravilo delovalo pri eni skupini bolnikov in ne tudi pri drugi.

Nadalje je inšpekcijski pregled na dveh lokacijah študij pokazal na pomanjkljivosti v izvedbi študije, kar je vzbudilo dvom o celovitosti podatkov.

Odbor je izrazil pomisleke zaradi tega, kako so bili obdelani podatki bolnikov, ki so odstopili od zdravljenja, kar bi lahko nakazovalo na pristranskost rezultatov v korist zdravilu Alsitek.

Zato je menil, da študija ni zagotovila dovolj dokazov o koristih zdravila Alsitek, in priporočil, da se vloga za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom zavrne.

Kakšne so posledice zavrnitve za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih ali programih sočutne uporabe?

Družba je obvestila odbor CHMP, da zavrnitev nima posledic za bolnike, ki so vključeni v klinična preskušanja ali programe sočutne uporabe.

Če ste vključeni v klinično preskušanje ali program sočutne uporabe in potrebujete več informacij o zdravljenju, se obrnite na zdravnika, ki vam je predpisal zdravljenje.