

18 de octubre de 2024  
EMA/472277/2024  
EMEA/H/C/005897

## Denegación de la autorización de comercialización de Masitinib AB Science (mesilato de masitinib)

La denegación se confirma tras la revisión

Tras reexaminar su dictamen inicial, la Agencia Europea de Medicamentos ha confirmado su recomendación de denegar la autorización de comercialización del medicamento Masitinib AB Science, un medicamento destinado al tratamiento de la esclerosis lateral amiotrófica (ELA).

La Agencia emitió su dictamen tras la revisión el 17 de octubre de 2024. La Agencia había emitido su dictamen inicial el 27 de junio de 2024. La empresa que solicitó la autorización de Masitinib AB Science es AB Science.

### ¿Qué es Masitinib AB Science y a qué uso estaba destinado?

Masitinib AB Science se desarrolló como medicamento para tratar a adultos con ELA. Estaba destinado a utilizarse en combinación con riluzol (otro medicamento para la ELA). La ELA es una enfermedad progresiva del sistema nervioso en la que las neuronas del cerebro y la médula espinal encargadas de controlar el movimiento voluntario experimentan un deterioro progresivo, lo que provoca la pérdida de la función muscular y parálisis.

Masitinib AB Science contiene el principio activo mesilato de masitinib e iba a presentarse en forma de comprimidos.

Masitinib AB Science fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 29 de agosto de 2016 para el tratamiento de la ELA. Puede encontrarse más información sobre la designación de medicamento huérfano en la página web de la Agencia: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161722](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161722).

## **¿Cómo actúa Masitinib AB Science?**

El principio activo de Masitinib AB Science, el mesilato de masitinib, es un inhibidor de la proteína cinasa. Esto significa que bloquea unas enzimas específicas conocidas como proteínas cinasas. El bloqueo de estas enzimas afecta a la actividad de determinadas células del sistema inmunitario (las defensas naturales del organismo) implicadas en la inflamación. Al bloquear estas enzimas, se esperaba que el mesilato de masitinib redujera la inflamación y protegiera a las células nerviosas del daño, ralentizando así el empeoramiento de los síntomas de la ELA.

## **¿Qué documentación presentó la empresa en apoyo de su solicitud?**

La empresa presentó los resultados de un estudio principal en el que participaron 394 adultos con ELA. A los pacientes se les administró masitinib AB Science o un placebo (un tratamiento ficticio) dos veces al día durante 48 semanas. Todos los pacientes también recibieron riluzol. El criterio principal de valoración de la eficacia fue el cambio a lo largo de 48 semanas en la puntuación ALSFRS-R, una medida de los síntomas de ELA que afectan a la vida cotidiana de los pacientes.

## **¿Cuáles fueron los motivos principales para denegar la autorización de comercialización?**

En el momento de la evaluación inicial, la Agencia consideró que los datos del estudio no eran fiables, ya que los resultados de las inspecciones de buenas prácticas clínicas (BPC) coordinadas por la EMA y otras autoridades reguladoras habían identificado problemas relacionados con la realización del estudio que la empresa no podía abordar de manera suficiente. Además, los beneficios de Masitinib AB Science no pudieron demostrarse de manera convincente; el estudio no encontró ninguna diferencia entre el medicamento y el placebo en el criterio principal de valoración de la eficacia para la población total del estudio y presentaba varias cuestiones metodológicas.

Estas preocupaciones no cambiaron tras el reexamen de los datos facilitados y tras consultar a un grupo de expertos en neurología, así como a los representantes de los pacientes. Al adoptar su decisión final, la Agencia también tuvo en cuenta la información compartida por las organizaciones de pacientes (las denominadas intervenciones de terceros).

Por consiguiente, la Agencia mantuvo su opinión de que los beneficios de Masitinib AB Science no superaban a los riesgos y recomendó denegar la autorización de comercialización.

## **¿Qué consecuencias tiene esta denegación para los pacientes que participan en los ensayos clínicos?**

La empresa informó a la Agencia de que no hay consecuencias para los pacientes que participan en ensayos clínicos con Masitinib AB Science.

Si participa usted en un ensayo clínico y precisa información adicional acerca de su tratamiento, póngase en contacto con su médico en el ensayo clínico.