



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18. oktoober 2024  
EMA/472277/2024  
EMA/H/C/005897

## Müügiloo andmisest keeldumine: Masitinib AB Science (masitiniibmesülaad)

### Taasläbivaatamisel kinnitati keeldumist

Pärast oma esialgse arvamuse taasläbivaatamist kinnitas Euroopa Raviamet oma soovitus keelduda müügiloo andmisest ravimile Masitinib AB Science, mida kavatseti kasutada amüotroofse lateraalskleroosi (ALS) raviks.

Amet esitas oma arvamuse pärast taasläbivaatamist 17. oktoobril 2024. Amet avaldas oma esialgse arvamuse 27. juunil 2024. Ravimi Masitinib AB Science müügiluba taotles ettevõtte AB Science.

### Mis on Masitinib AB Science ja milleks kavatseti seda kasutada?

Ravim Masitinib AB Science töötati välja ravimina ALS-iga täiskasvanute raviks. Seda kavatseti kasutada kombinatsioonis rilusooliga (samuti ALS-i ravim). ALS on progresseeruv närvisüsteemi haigus, mille korral tahtlikke liigutusi reguleerivad pea- ja seljaaju närvirakud järk-järgult lagunevad, vähendades lihaste talitlust ja põhjustades paralüüsi.

Masitinib AB Science sisaldab toimeainena masitiniibmesülaati ja seda kavatseti turustada tablettidena.

Masitinib AB Science nimetati 29. augustil 2016 ALS-i harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetamise kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161722](https://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161722).

### Kuidas Masitinib AB Science toimib?

Ravimi Masitinib AB Science toimeaine masitiniibmesülaad on proteiinkinaasiinhibiitor. See tähendab, et see blokeerib proteiinkinaasideks nimetatavad ensüümid. Nende ensüümide blokeerimine mõjutab põletikuprotsessis osalevate immuunsüsteemi (organismi looduslike kaitsemehhanismide) teatud rakkude aktiivsust. Eeldati, et neid ensüüme blokeerides vähendab masitiniibmesülaad põletikku ja kaitseb närvirakke kahjustuste eest, aeglustades seega ALS-sümptomite süvenemist.



## **Mis dokumendid esitas ettevõtte oma taotluse toetuseks?**

Ettevõtte esitas tulemused põhiuuringust, milles osales 394 ALS-iga täiskasvanut. Patsiendid said ravimit Masitinib AB Science või platseebot (näiv ravim) kaks korda ööpäevas 48 nädala jooksul. Kõik patsiendid said ka rilusooli. Efektiivsuse põhinäitaja oli muutus 48 nädala jooksul ALSFRS-R-skooris – see mõõdab ALS-sümptome, mis mõjutavad patsientide igapäevaelu.

## **Mis olid müügiloa andmisest keeldumise peamised põhjused?**

Esmase hindamise ajal leidis amet, et uuringuandmed ei ole usaldusväärsed, sest EMA ja teiste reguleerivate asutuste koordineeritud hea kliinilise tava kontrollimise tulemused tuvastasid uuringu tegemisel probleeme, mida ettevõtte ei suutnud piisavalt lahendada. Lisaks ei olnud veenvalt tõendatud ravimi Masitinib AB Science kasulikkust; uuringus ei leitud kogu uuringupopulatsiooni efektiivsuse põhinäitaja osas ravimi ja platseebo erinevust ning uuringul oli mitu meetodikaprobleemi.

Need probleemid ei muutunud pärast esitatud andmete taasläbivaatamist ning pärast konsulteerimist neuroloogia eksperdirühma ja patsientide esindajatega. Lõpliku otsuse tegemisel arvestas amet ka patsiendiorganisatsioonide jagatud teavet (kolmandate isikute sekkumised).

Seega jäi amet oma arvamuse juurde, et ravimi Masitinib AB Science kasulikkus ei ole suurem kui selle riskid, ja soovitas müügiloa andmisest keelduda.

## **Kas keeldumine mõjutab kliinilistes uuringutes osalevaid patsiente?**

Ettevõtte teatas ametile, et puuduvad tagajärjed ravimi Masitinib AB Science kliinilistes uuringutes osalevatele patsientidele.

Kui osalete ravimi kliinilises uuringus ja vajate ravi kohta lisateavet, rääkige kliinilise uuringu arstiga.