

EMA/207380/2018 Versio 2
EMA/H/C/004398
1. kesäkuuta 2018

Lääkevalmisteen Alsitek (masitinibi) myyntilupahakemuksen epääminen

Lääkevalmistekomitea (CHMP) antoi 18. huhtikuuta 2018 kielteisen lausunnon, jossa se suosittelee epäämään myyntiluvan amyotrofisen lateraaliskleroosin (ALS) hoitoon tarkoitettulta Alsitek-lääkevalmisteelta.

Myyntilupaa hakenut yhtiö on AB Science. Yhtiö pyysi alkuperäisen lausunnon uudelleenarviointia, mutta peruutti pyynnön myöhemmin.

Mitä Alsitek on?

Alsitek on lääke, jonka vaikuttava aine on masitinibi. Lääkevalmistetta oli tarkoitus saada tabletteina.

Mihin Alsitekia oli tarkoitus käyttää?

Alsitekia oli tarkoitus käyttää amyotrofisen lateraaliskleroosin (ALS) hoitoon. ALS on etenevä hermostosairaus, jossa tahdonalaisia liikkeitä ohjaavat aivojen ja selkärangan hermosolut rappeutuvat vähitellen. Tämä johtaa lihasten toimintakyvyn menetykseen ja halvaantumiseen. Alsitekia oli tarkoitus käyttää yhdessä toisen ALS-lääkkeen rilutsolin kanssa.

Alsitek nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisissa sairauksissa käytettävä lääke) 29. elokuuta 2016 ALS-taudin hoitoa varten. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on [täällä](#).

Miten Alsitek vaikuttaa?

Alsitekin arvellaan vähentävän aivojen immuunipuolustuksesta vastaavien mikrogliasolujen aktiivisuutta ja eräiden valkosolujen eli syöttösolujen aktiivisuutta. Mikroglia- ja syöttösolut saattavat aiheuttaa tulehdusta ja hermovaurioita ALS-potilailla. Vähentämällä näiden solujen aktiivisuutta lääkkeen arvellaan ehkäisevän tulehdusta ja hermovaurioita, jolloin potilaan oireiden paheneminen hidastuu.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Hakija toimitti tulokset yhdestä päätutkimuksesta, johon osallistui 394 ALS-potilasta. Tutkimuksessa Alsitekia verrattiin lumelääkkeeseen, ja kumpaakin otettiin yhdessä rilutsolin kanssa. Tehon päämittana oli muutos potilaiden oireissa 48 viikon hoidon jälkeen ALS-taudin vakioarviointiasteikolla arvioituna.

Mitkä olivat lääkevalmistekomitean tärkeimmät epäämiseen johtaneet huolenaiheet?

Lääkevalmistekomitea katsoi, että ALS-potilailla tehty päätutkimus ei osoittanut Alsitekin hidastavan taudin etenemistä tehokkaasti. Vaikka myönteistä vaikutusta oireisiin nähtiin potilailla, joiden sairaus paheni tavanomaista vauhtia, verrattuna potilaisiin, joiden sairaus paheni nopeasti, lääkevalmistekomitea katsoi, että potilaiden luokittelu tällä tavalla oli sattumanvaraista eikä kliinisen käytännön mukaista. Ei ollut myöskään mitään syytä, miksi lääke toimisi yhdessä potilasryhmässä mutta ei muissa.

Lisäksi kahden tutkimuspaikan tarkistuksessa ilmeni tutkimuksen tekemiseen liittyviä puutteita, jotka asettivat tietojen luotettavuuden kyseenalaiseksi.

Lääkevalmistekomitea oli myös huolissaan siitä, miten hoidon lopettaneiden potilaiden tietoja käsiteltiin, sillä tämä on saattanut aiheuttaa tuloksia koskevan vääristymän Alsitekin eduksi.

Tämän vuoksi lääkevalmistekomitea katsoi, että tutkimus ei tarjonnut riittävästi näyttöä Alsitekin hyödyistä ja suositteli, että myyntilupaa ei myönnetä.

Mitä seurauksia epäamisestä on kliinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin osallistuville potilaille?

Yhtiö ilmoitti lääkevalmistekomitealle, ettei päätöksellä ole mitään seurauksia kliinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmaan osallistuville potilaille.

Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa tai erityiskäyttöohjelmassa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, ota yhteyttä hoitavaan lääkäriin.