



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Masitinib AB Science -valmisteen (masitinibimesilaatti) myyntiluvan epääminen

Epääminen on vahvistettu uudelleenarvioinnissa

Euroopan lääkevirasto on alkuperäisen lausuntonsa uudelleenarvioinnin jälkeen vahvistanut suosituksensa evätä amyotrofisen lateraaliskleroosin (ALS) hoitoon tarkoitetun Masitinib AB Science -valmisteen myyntilupa.

Virasto antoi lausuntonsa uudelleenarvioinnin jälkeen 17. lokakuuta 2024. Virasto antoi ensimmäisen lausuntonsa 27. kesäkuuta 2024. Masitinib AB Science -valmisteele myyntilupaa haki AB Science -yhtiö.

Mitä Masitinib AB Science on ja mihin sitä oli tarkoitus käyttää?

Masitinib AB Science kehitettiin lääkkeeksi ALS:ää sairastaville aikuisille. Se oli tarkoitettu käytettäväksi yhdessä rilutsolin (toinen ALS-lääke) kanssa. ALS on etenevä hermostosairaus, jossa tahdonalaisia liikkeitä ohjaavat aivojen ja selkärangan hermosolut rappeutuvat vähitellen. Tämä johtaa lihasten toimintakyvyn menetykseen ja halvaantumiseen.

Masitinib AB Science -valmisteen vaikuttava aine on masitinibimesilaatti, ja sitä oli määrä olla saatavana tabletteina.

Masitinib AB Science nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 29. elokuuta 2016 ALS:n hoitoa varten. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on viraston verkkosivuilla: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161722](https://www.ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161722).



Miten Masitinib AB Science vaikuttaa?

Masitinib AB Science -valmisteen vaikuttava aine masitinibimesilaatti on proteiinikinaasin estäjä. Tämä tarkoittaa, että se estää tiettyjen proteiinikinaaseiksi kutsuttujen entsyymien toimintaa. Näiden entsyymien estäminen vaikuttaa immuunijärjestelmän (elimistön luonnollisen puolustusmekanismin) tiettyjen tulehdukseen osallistuvien solujen toimintaan. Estämällä näiden entsyymien toimintaa masitinibimesilaatin odotettiin vähentävän tulehdusta ja suojaavan hermosoluja vaurioilta, mikä hidastaa ALS-oireiden pahenemista.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö esitteli tulokset päätutkimuksesta, johon osallistui 394 ALS:ää sairastavaa aikuista. Potilaille annettiin Masitinib AB Science -valmistetta tai lumelääkettä kahdesti vuorokaudessa 48 viikon ajan. Kaikki potilaat saivat myös rilutsolia. Tehon pääasiallisena mittana oli ALSFRS-R-pistemäärän muutos 48 viikon aikana. Sillä mitataan potilaiden päivittäiseen elämään vaikuttavia ALS-oireita.

Mitkä olivat tärkeimmät syyt myyntiluvan epäämiseen?

Ensimmäisen arvioinnin aikaan virasto katsoi, että tutkimustiedot eivät olleet luotettavia, koska Euroopan lääkeviraston ja muiden sääntelyviranomaisten koordinoimien hyvän kliinisen tutkimustavan tarkastusten tuloksissa oli havaittu tutkimuksen suorittamiseen liittyviä ongelmia, joita yhtiö ei pystynyt ratkaisemaan riittävällä tavalla. Lisäksi Masitinib AB Science -valmisteen hyötyä ei voitu osoittaa vakuuttavasti. Tutkimuksessa ei havaittu lääkkeen ja lumelääkkeen välistä eroa tehon pääasiallisella mittarilla koko tutkimuspopulaatiossa, ja siihen liittyi useita metodologisia ongelmia.

Nämä huolenaiheet eivät muuttuneet toimitettujen tietojen uudelleentarkastelun ja neurologian alan asiantuntijaryhmän ja potilaiden edustajien kuulemisen jälkeen. Laatiessaan lopullista päätöstä virasto otti huomioon myös potilasjärjestöjen antamat tiedot (ns. kolmannen osapuolen toimet).

Näin ollen virasto pysyi kannassaan, jonka mukaan Masitinib AB Science -valmisteen hyödyt eivät olleet sen riskejä suuremmat, ja suositteli myyntiluvan epäämistä.

Vaikuttaako epääminen kliinisiin tutkimuksiin osallistuviin potilaisiin?

Yhtiö ilmoitti virastolle, että peruuttamisesta ei ole mitään seurauksia potilaille, jotka osallistuvat Masitinib AB Science -valmistetta koskeviin kliinisiin tutkimuksiin.

Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, keskustele asiasta kliinisen tutkimuksen lääkärin kanssa.