EMA/207380/2018 Rev. 2
EMEA/H/C/004398
1er juin 2018

Refus de l'autorisation de mise sur le marché pour Alsitek (masitinib)

Le 18 avril 2018, le comité des médicaments à usage humain (CHMP) a adopté un avis négatif et a recommandé le refus de l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché pour Alsitek, un médicament destiné au traitement de la sclérose latérale amyotrophique (SLA).

La société ayant demandé l'autorisation est AB Science. Elle avait sollicité un réexamen de cet avis, mais a ultérieurement retiré sa demande.

Qu'est-ce qu'Alsitek?

Alsitek est un médicament qui contient le principe actif masitinib. Il devait être disponible sous forme de comprimés.

Dans quel cas Alsitek devait-il être utilisé?

Alsitek devait être utilisé dans le traitement de la sclérose latérale amyotrophique (SLA). La SLA est une maladie évolutive du système nerveux, dans laquelle les cellules nerveuses du cerveau et de la moelle épinière qui contrôlent les mouvements volontaires se détériorent progressivement, provoquant une perte de la fonction musculaire et une paralysie. Alsitek devait être utilisé en association avec le riluzole, un autre médicament pour le traitement de la SLA.

Alsitek a été désigné comme étant un «médicament orphelin» (médicament utilisé pour des maladies rares), le 29 août 2016 pour le traitement de la SLA. Des informations complémentaires sur la désignation de médicament orphelin sont disponibles ici.

Comment Alsitek agit-il?

Alsitek agirait en réduisant l'activité de la microglie, les principales cellules immunitaires (de défense) du cerveau, et les mastocytes, un type de globule blanc. La microglie et les mastocytes peuvent jouer un rôle dans l'inflammation et l'atteinte des nerfs chez les patients atteints de SLA. En réduisant leur

30 Churchill Place ● Canary Wharf ● London E14 5EU ● United Kingdom
Telephone +44 (0)20 3660 6000 **Facsimile** +44 (0)20 3660 5555
Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union

© European Medicines Agency, 2018. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

activité, le médicament devrait réduire l'inflammation et l'atteinte des nerfs, ralentissant ainsi l'aggravation des symptômes du patient.

Quelle a été la documentation présentée par la société pour justifier sa demande?

Le demandeur a présenté les résultats d'une étude principale incluant 394 patients atteints de SLA, dans laquelle Alsitek a été comparé à un placebo (un traitement fictif), chacun étant pris en association avec du riluzole. Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était la modification, après 48 semaines de traitement, des symptômes des patients évalués sur une échelle standard pour la SLA.

Quelles ont été les principales réserves du CHMP ayant conduit au refus?

Le CHMP a conclu que l'étude principale chez les patients atteints de SLA ne montrait pas qu'Alsitek est efficace pour ralentir la progression de la maladie. Bien qu'un effet positif sur les symptômes ait été observé dans le groupe de patients dont la maladie s'aggravait à une vitesse habituelle comparés à ceux dont la maladie s'aggravait rapidement, le CHMP a estimé que cette manière de classer les patients était arbitraire et ne reflétait pas la pratique clinique. En outre, il n'y avait aucune raison pour que le médicament fonctionne dans un groupe de patients et pas chez les autres.

De plus, une inspection sur deux des sites d'étude a révélé des lacunes dans la façon dont l'étude était menée, ce qui laisse planer un doute sur l'intégrité des données.

Enfin, le comité était préoccupé par la façon dont les données des patients qui se sont retirés du programme de traitement ont été gérées, et qui pourrait avoir biaisé les résultats en faveur d'Alsitek.

Par conséquent, le CHMP a estimé que l'étude ne fournissait pas de preuves fiables des bénéfices d'Alsitek, et a recommandé le refus de l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché pour ce médicament.

Quelles sont les conséquences du refus pour les patients participant aux essais cliniques ou bénéficiant de programmes d'utilisation compassionnelle?

La société a informé le CHMP qu'il n'y a aucune conséquence pour les patients participant à des essais cliniques ou à des programmes d'utilisation compassionnelle.

Si vous participez à un essai clinique ou à un programme d'utilisation compassionnelle et si vous souhaitez obtenir des informations supplémentaires sur votre traitement, contactez le médecin qui vous a prescrit le traitement.