



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18 octobre 2024
EMA/472277/2024
EMA/H/C/005897

Refus de l'autorisation de mise sur le marché pour Masitinib AB Science (mésilate de masitinib)

Le réexamen confirme le refus.

Après avoir réexaminé son avis initial, l'Agence européenne des médicaments a confirmé sa recommandation de refuser l'autorisation de mise sur le marché pour le médicament Masitinib AB Science, un médicament destiné au traitement de la sclérose latérale amyotrophique (SLA).

L'Agence a émis son avis après réexamen le 17 octobre 2024. L'Agence avait rendu son avis initial le 27 juin 2024. La société qui a demandé l'autorisation de Masitinib AB Science est AB Science.

Qu'est-ce que Masitinib AB Science et dans quel cas devait-il être utilisé?

Masitinib AB Science a été mis au point en tant que médicament indiqué dans le traitement des adultes atteints de SLA. Il était destiné à être utilisé en association avec le riluzole (un autre médicament indiqué dans le traitement de la SLA). La SLA est une maladie évolutive du système nerveux, au cours de 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.

Masitinib AB Science contient la substance active mésilate de masitinib et devait être disponible sous la forme de comprimés.

Masitinib AB Science a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 29 août 2016 pour le traitement de la SLA. Des informations complémentaires sur la désignation de médicament orphelin sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161722.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Comment Masitinib AB Science agit-il?

La substance active de Masitinib AB Science, le mésilate de masitinib, est un inhibiteur de la protéine kinase. Cela signifie qu'il bloque des enzymes spécifiques appelées protéines kinases. Le blocage de ces enzymes affecte l'activité de certaines cellules du système immunitaire (les défenses naturelles du corps) responsables de l'inflammation. En bloquant ces enzymes, le mésilate de masitinib était censé réduire l'inflammation et protéger les cellules nerveuses des lésions, ralentissant ainsi l'aggravation des symptômes de la SLA.

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

La société a présenté les résultats d'une étude principale portant sur 394 adultes atteints de SLA. Les patients ont reçu Masitinib AB Science ou un placebo (un traitement fictif) deux fois par jour pendant 48 semaines. Tous les patients ont également reçu du riluzole. Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était l'évolution, sur 48 semaines, du score ALSFRS-R, une mesure des symptômes de la SLA qui ont une incidence sur la vie quotidienne des patients.

Quels étaient les principaux motifs ayant conduit au refus de l'autorisation de mise sur le marché?

Au moment de l'évaluation initiale, l'Agence a estimé que les données de l'étude n'étaient pas fiables, étant donné que les conclusions des inspections relatives aux bonnes pratiques cliniques (BPC) coordonnées par l'EMA et d'autres autorités de régulation avaient mis en évidence des problèmes dans la conduite de l'étude que l'entreprise n'avait pas complètement résolus. En outre, les bénéfices de Masitinib AB Science n'ont pas été démontrés de manière convaincante; l'étude n'a révélé aucune différence entre le médicament et le placebo dans le principal critère d'évaluation de l'efficacité pour l'ensemble de la population participant à l'étude et présentait plusieurs problèmes méthodologiques.

Ces préoccupations n'ont pas évolué après le réexamen des données fournies et à la suite de la consultation d'un groupe d'experts en neurologie, ainsi que de représentants des patients. Pour rendre sa décision finale, l'Agence a également pris en considération les informations communiquées par les organisations de patients (appelées «interventions de tiers»).

Par conséquent, l'Agence a maintenu son avis selon lequel les bénéfices de Masitinib AB Science n'étaient pas supérieurs à ses risques et a recommandé le refus de l'autorisation de mise sur le marché.

Ce refus a-t-il des conséquences pour les patients participant aux essais cliniques?

La société a informé l'Agence qu'il n'y avait aucune conséquence pour les patients actuellement inclus dans des essais cliniques utilisant Masitinib AB Science.

Si vous participez à un essai clinique et que vous souhaitez obtenir des informations complémentaires sur votre traitement, contactez le médecin qui dirige l'essai clinique.