



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Odbijanje odobrenja za stavljanje u promet lijeka Masitinib AB Science (masitinib mesilat)

Odbijanje se potvrđuje nakon preispitivanja

Nakon preispitivanja svojeg prvotnog mišljenja Europska agencija za lijekove potvrdila je svoju preporuku o odbijanju odobrenja za stavljanje u promet lijeka Masitinib AB Science, lijeka namijenjenog za liječenje amiotrofične lateralne skleroze (ALS).

Agencija je donijela svoje mišljenje 17. listopada 2024. nakon preispitivanja. Agencija je svoje prvotno mišljenje donijela 27. lipnja 2024. Zahtjev za izdavanje odobrenja za lijek Masitinib AB Science podnijela je tvrtka AB Science.

Što je Masitinib AB Science i za što se trebao koristiti?

Masitinib AB Science razvijen je kao lijek za liječenje odraslih osoba s ALS-om. Trebao se primjenjivati u kombinaciji s riluzolom (drugim lijekom za ALS). ALS je progresivna bolest živčanog sustava kod koje postupno odumiru živčane stanice u mozgu i leđnoj moždini koje kontroliraju dobrovoljne pokrete, što uzrokuje gubitak mišićne funkcije i paralizu.

Masitinib AB Science sadrži djelatnu tvar masitinib mesilat i trebao je biti dostupan u obliku tableta.

Masitinib AB Science uvršten je na popis lijekova za rijetke bolesti 29. kolovoza 2016. za liječenje ALS-a. Više informacija o statusu lijekova za rijetke bolesti dostupno je na mrežnom mjestu Agencije: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161722.

Kako djeluje Masitinib AB Science?

Djelatna tvar u lijeku Masitinib AB Science, masitinib mesilat, inhibitor je protein-kinaze. To znači da blokira posebne enzime poznate kao protein-kinaze. Blokiranje tih enzima utječe na aktivnost određenih stanica imunskog sustava (prirodne obrane tijela) uključenih u upalu. Očekivalo se da će blokiranjem tih enzima masitinib mesilat smanjiti upalu i zaštititi živčane stanice od oštećenja te tako usporiti pogoršanje simptoma ALS-a.



Što je tvrtka dostavila u prilog svom zahtjevu?

Tvrtka je predstavila rezultate glavnog ispitivanja koje je obuhvatilo 394 odrasle osobe s ALS-om. Bolesnici su primali Masitinib AB Science ili placebo (prividno liječenje) dva puta na dan tijekom 48 tjedana. Svi bolesnici primali su i riluzol. Glavno mjerilo učinkovitosti bila je promjena rezultata tijekom 48 tjedana na ljestvici ALSFRS-R kojom se mjere simptomi ALS-a koji utječu na svakodnevni život bolesnika.

Koji su bili glavni razlozi za odbijanje odobrenja za stavljanje lijeka u promet?

U vrijeme početne procjene Agencija je smatrala da podatci iz ispitivanja nisu pouzdani jer su u nalazima inspekcija dobre kliničke prakse koje je koordinirala EMA i druga regulatorna tijela utvrđeni problemi u vezi s provedbom ispitivanja koje tvrtka nije mogla u dovoljnoj mjeri riješiti. Osim toga, koristi od lijeka Masitinib AB Science nisu se mogle uvjerljivo dokazati; u ispitivanju nije utvrđena razlika između lijeka i placeba u glavnom mjerilu učinkovitosti za ukupnu populaciju iz ispitivanja te je postojalo nekoliko metodoloških problema.

Ti razlozi za zabrinutost nisu se promijenili nakon preispitivanja dostavljenih podataka i nakon savjetovanja sa skupinom stručnjaka za neurologiju, kao i s predstavnicima bolesnika. Pri donošenju svoje konačne odluke Agencija je uzela u obzir i informacije koje su dostavile organizacije bolesnika (takozvane intervencije trećih strana).

Stoga je Agencija ostala pri svojem mišljenju da koristi od lijeka Masitinib AB Science ne nadmašuju s njim povezane rizike te je preporučila odbijanje izdavanja odobrenja za stavljanje lijeka u promet.

Ima li ovo odbijanje zahtjeva posljedice za bolesnike u kliničkim ispitivanjima?

Tvrtka je obavijestila Agenciju da nema posljedica za bolesnike koji su uključeni u klinička ispitivanja u kojima se koristi lijek Masitinib AB Science.

Ako sudjelujete u kliničkom ispitivanju te vam je potrebno više informacija o liječenju, obratite se liječniku koji vodi vaše kliničko ispitivanje.