

EMA/207380/2018 Rev. 2
EMA/H/C/004398
2018. június 1.

Az Alsitek-re (maszitinib) vonatkozó forgalomba hozatali engedély elutasítása

2018. április 18-án az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP) negatív véleményt fogadott el, amelyben az amiotrófiás laterálszklerózis (ALS) kezelésére szánt Alsitek-re vonatkozó forgalomba hozatali engedély elutasítását javasolta.

Az engedélyért folyamodó vállalat az AB Science volt. A vállalat kérelmezte a vélemény felülvizsgálatát, majd később visszavonta a kérelmet.

Milyen típusú gyógyszer az Alsitek?

Az Alsitek egy maszitinib nevű hatóanyagot tartalmazó gyógyszer. Tabletta formájában tervezték forgalmazni.

Milyen alkalmazására szánták az Alsitek-et?

Az Alsitek-et amiotrófiás laterálszklerózis (ALS) kezelésére szánták. Az ALS az idegrendszer egyre súlyosbodó betegsége, amelyben az agy és a gerincvelő akaratlagos mozgásért felelős idegsejtjei fokozatosan elpusztulnak, ami az izomfunkciók elvesztéséhez és bénuláshoz vezet. Az Alsitek-et riluzollal, egy az ALS kezelésére szolgáló másik gyógyszerrel együtt tervezték alkalmazni.

Az Alsitek-et 2016. augusztus 29-én az ALS tekintetében „ritka betegségek elleni gyógyszerre” minősítették. A ritka betegség elleni gyógyszerre minősítésről további információ itt található [itt](#).

Hogyan fejti ki hatását az Alsitek?

Az Alsitek feltételezhetően a mikroglia – az agy fő immun (védekező) sejtjei – és a hízósejtek – egy fehérvérsejt típus – aktivitásának csökkentésén keresztül hat. A mikroglia és a hízósejtek szerepet játszhatnak az ALS-ben szenvedő betegek idegeinek gyulladásában és sérülésében. Aktivitásuk csökkentésén keresztül a gyógyszer várhatóan csökkenti az idegek gyulladását és sérülését, ezáltal lassítja a beteg tüneteinek rosszabbodását.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A kérelmező egy fő tanulmány eredményét mutatta be, amely 394 ALS-ben szenvedő beteg részvételével készült, és az Alsitek-et placebóval (hatóanyag nélküli kezelés) hasonlította össze, mindkettőt riluzollal együtt alkalmazva. A fő hatékonysági mutató ebben a vizsgálatban a betegek tüneteiben 48 hét után észlelhető változás volt, amelyet ALS esetén használatos, szabványos skála segítségével értékelték.

Melyek voltak a CHMP fő aggályai, amelyek az elutasításhoz vezettek?

A CHMP következtetése az volt, hogy az ALS-ben szenvedő betegekkel végzett fő vizsgálat nem mutatta ki az Alsitek hatékonyságát a betegség súlyosbodásának lassításában. Bár pozitív hatás volt megfigyelhető azoknál a betegeknél, akiknél a betegség normális mértékű súlyosbodást mutatott azokhoz a betegekhez képest, akiknél gyorsabb volt az állapotromlás, a CHMP álláspontja szerint a betegek klasszifikációjának ez a módja tetszőleges és nem tükrözi a klinikai gyakorlatot. Továbbá nem indokolható, hogy a gyógyszer miért lenne hatásos a betegek egy csoportjában és hatástalan egy másik csoportban.

Ezen túl a vizsgálati helyek közül kettőnek az ellenőrzése során hiányosságokra derült fény a kutatás lefolytatását illetően, ami kétségbe vonja az adatok integritását.

Végül a bizottság aggodalmát fejezte ki a vizsgálatból kilépő betegek adatai kezelésének módját illetően, ami a kutatás eredményeit az Alsitek javára torzíthatta.

Ezért a CHMP azon a véleményen volt, hogy a vizsgálat nem nyújtott elég bizonyítékot az Alsitek előnyeit illetően, és a forgalomba hozatali engedély elutasítását javasolta.

Milyen következményekkel jár az elutasítás azokra a betegekre nézve, akik klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti alkalmazási programokban vesznek részt?

A vállalat tájékoztatta a CHMP-t, hogy nincs következmény a klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti alkalmazási programban részt vevő betegekre nézve.

Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vagy engedélyezés előtti kezelési programban vesz részt, és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával.