



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

A Masitinib AB Science (maszitinib meszilát) forgalombahozatali engedélyének elutasítása

A felülvizsgálat megerősíti az elutasítást

Eredeti véleményének felülvizsgálatát követően az Európai Gyógyszerügynökség megerősítette az amiotrófiás laterálszlerózis (ALS) kezelésére szánt Masitinib AB Science-re vonatkozó forgalombahozatali engedély elutasítására irányuló ajánlását.

Az Ügynökség 2024. október 17-én adta ki a felülvizsgálatot követő véleményét. Az Ügynökség az eredeti véleményét 2024. június 27-én adta ki. A Masitinib AB Science engedélyezését kérelmező vállalat az AB Science.

Milyen típusú gyógyszer a Masitinib AB Science és milyen alkalmazásra szánták?

A Masitinib AB Science-et ALS-ben szenvedő felnőttek kezelésére fejlesztették ki. A gyógyszert riluzollal (az ALS kezelésére alkalmazott másik gyógyszer) kombinációban tervezték alkalmazni. Az ALS az idegrendszer egyre súlyosbodó betegsége, amelyben az agy és a gerincvelő akaratlagos mozgásért felelős idegsejtjei fokozatosan elpusztulnak, ami az izomfunkció elvesztéséhez és bénuláshoz vezet.

A Masitinib AB Science hatóanyaga a maszitinib meszilát, és tablettá formájában állt volna rendelkezésre.

A Masitinib AB Science-et 2016. augusztus 29-én az ALS kezelése tekintetében „ritka betegség elleni gyógyszerre” minősítették. A ritka betegség elleni gyógyszerre minősítésről további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: 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



Hogyan fejti ki hatását a Masitinib AB Science?

A Masitinib AB Science hatóanyaga, a maszitinib meszilát egy protein-kináz inhibitor. Ez azt jelenti, hogy gátolja a protein-kináz nevű enzimek működését. Ezeknek az enzimeknek a gátlása befolyásolja az immunrendszer (a szervezet természetes védekező rendszere) bizonyos, a gyulladásban szerepet játszó sejtjeinek működését. Ezen enzimek gátlása révén a maszitinib mesziláttól azt várták, hogy csökkenti a gyulladást és megvédi az idegsejteket a károsodástól, ezáltal lelassítja az ALS tüneteinek súlyosbodását.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat egy fő vizsgálat eredményeit nyújtotta be, amelyben 394, ALS-ben szenvedő felnőtt vett részt. A betegek 48 héten keresztül naponta kétszer Masitinib AB Science-et vagy placebót (hatóanyag nélküli kezelést) kaptak. Valamennyi beteg riluzolt is kapott. A hatásosság fő mutatója a betegek mindennapi életét befolyásoló ALS-tünetek mutatójának, az ALSFRS-R pontszámnak 48 hét alatt bekövetkezett változása volt.

Melyek voltak a forgalombahozatali engedély elutasításának fő okai?

A kezdeti értékelés idején az Ügynökség úgy ítélte meg, hogy a vizsgálati adatok nem voltak megbízhatóak, mivel az EMA és más szabályozó hatóságok által koordinált, a helyes klinikai gyakorlatra (GCP) vonatkozó ellenőrzések megállapításai olyan problémákat tártak fel a vizsgálat elvégzésével kapcsolatban, amelyeket a vállalat nem tudott kielégítően kezelni. Ezenfelül a Masitinib AB Science előnyeit nem lehetett meggyőzően igazolni; a vizsgálatban nem találtak különbséget a gyógyszer és a placebo között a teljes vizsgálati populáció tekintetében a hatásosság fő mutatójában, és számos módszertani probléma merült fel.

Ezek az aggályok nem változtak a szolgáltatott adatok felülvizsgálatát és egy neurológiai szakértői csoporttal, valamint a betegek képviselőivel folytatott konzultációt követően. A végső döntés meghozatalakor az Ügynökség figyelembe vette a betegképviseleti szervezetek által megosztott információkat is (úgynevezett harmadik fél beavatkozásai).

Ezért az Ügynökség fenntartotta azt a véleményét, hogy a Masitinib AB Science előnyei nem haladták meg a kockázatokat, és a forgalombahozatali engedély elutasítását javasolta.

Milyen következményekkel jár az elutasítás azokra a betegekre nézve, akik részt vesznek klinikai vizsgálatokban?

A vállalat tájékoztatta az Ügynökséget, hogy az elutasításnak a Masitinib AB Science-szel végzett klinikai vizsgálatokban jelenleg részt vevő betegekre nézve nincsenek következményei.

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