



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio per Masitinib AB Science (masitinib mesilato)

Rifiuto confermato dal riesame

Dopo aver riesaminato il proprio parere iniziale, l'Agenzia europea per i medicinali ha confermato la raccomandazione di rifiutare l'autorizzazione all'immissione in commercio per il medicinale Masitinib AB Science, un medicinale destinato al trattamento della sclerosi laterale amiotrofica (SLA).

L'Agenzia ha emesso il proprio parere dopo il riesame del 17 ottobre 2024. Il parere iniziale dell'Agenzia era stato emesso il 27 giugno 2024. La ditta che ha presentato la domanda di autorizzazione per Masitinib AB Science è AB Science.

Che cos'è Masitinib AB Science e per che cosa avrebbe dovuto essere usato?

Masitinib AB Science è stato sviluppato come medicinale per il trattamento di adulti affetti da SLA. Era destinato a essere usato in associazione a riluzolo (un altro medicinale per la SLA). La SLA è una malattia progressiva del sistema nervoso, in cui le cellule nervose del cervello e del midollo spinale che controllano il movimento volontario si deteriorano gradualmente, causando perdita della funzione muscolare e paralisi.

Masitinib AB Science contiene il principio attivo masitinib mesilato e avrebbe dovuto essere disponibile sotto forma di compresse.

Masitinib AB Science è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 29 agosto 2016 per il trattamento della SLA. Ulteriori informazioni sulla designazione di medicinale orfano sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: 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



Come agisce Masitinib AB Science?

Il principio attivo di Masitinib AB Science, masitinib mesilato, è un inibitore delle proteinchinasi. Ciò significa che blocca enzimi specifici noti come proteinchinasi. Il blocco di questi enzimi incide sull'attività di alcune cellule del sistema immunitario (le difese naturali dell'organismo) coinvolte nell'infiammazione. Bloccando questi enzimi, masitinib mesilato avrebbe dovuto ridurre l'infiammazione e proteggere le cellule nervose dai danni, rallentando in tal modo il peggioramento dei sintomi della SLA.

Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

La ditta ha presentato i risultati di uno studio principale condotto su 394 adulti affetti da SLA. Ai pazienti è stato somministrato Masitinib AB Science o placebo (un trattamento fittizio) due volte al giorno per 48 settimane. Tutti i pazienti hanno ricevuto anche riluzolo. La principale misura dell'efficacia è stata la variazione nell'arco di 48 settimane del punteggio ALSFRS-R, una misura dei sintomi della SLA che incidono sulla vita quotidiana dei pazienti.

Quali sono stati i motivi principali del rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio?

Al momento della valutazione iniziale, l'Agenzia riteneva che i dati dello studio non fossero affidabili, in quanto i risultati delle ispezioni relative alla buona prassi clinica (BPC) coordinate dall'EMA e altre autorità di regolamentazione avevano individuato problemi nella conduzione dello studio che la ditta non ha potuto risolvere completamente. Inoltre, i benefici di Masitinib AB Science non hanno potuto essere dimostrati in modo convincente; lo studio non ha riscontrato alcuna differenza tra il medicinale e il placebo nella misura principale dell'efficacia per la popolazione totale oggetto dello studio e ha presentato diversi problemi metodologici.

Tali dubbi sono rimasti invariati dopo il riesame dei dati forniti e in seguito alla consultazione di un gruppo di esperti in neurologia, nonché di rappresentanti dei pazienti. Per giungere alla sua decisione finale, l'Agenzia ha anche preso in considerazione le informazioni condivise dalle organizzazioni dei pazienti (i cosiddetti interventi di terzi).

L'Agenzia ha pertanto ribadito il suo parere secondo cui i benefici di Masitinib AB Science non erano superiori ai rischi e ha raccomandato il rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio.

Quali sono le conseguenze del rifiuto per i pazienti inseriti in studi clinici?

La ditta ha informato l'Agenzia che non vi sono conseguenze per i pazienti inseriti in studi clinici con Masitinib AB Science.

Le persone inserite in uno studio clinico che abbiano bisogno di maggiori informazioni sul proprio trattamento possono consultare il medico dello studio clinico.