



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2024 m. spalio 18 d.
EMA/472277/2024
EMA/H/C/005897

Atsisakymas suteikti Masitinib AB Science (mazitinibo mesilato) registracijos pažymėjimą

Po pakartotinio nagrinėjimo patvirtinta nepalanki nuomonė

Pakartotinai išnagrinėjusi savo pirminę nuomonę, Europos vaistų agentūra patvirtino rekomendaciją nesuteikti vaisto Masitinib AB Science, skirto šoninės amiotrofinės sklerozės (ŠAS) gydymui, registracijos pažymėjimą.

Savo nuomonę Agentūra paskelbė po 2024 m. spalio 17 d. vykusio pakartotinio nagrinėjimo. Savo pirminę nuomonę Agentūra buvo paskelbusi 2024 m. birželio 27 d. Paraišką gauti Masitinib AB Science registracijos pažymėjimą pateikė bendrovė „AB Science“.

Kas yra Masitinib AB Science ir kam jis buvo skirtas?

Masitinib AB Science buvo sukurtas kaip ŠAS sergantiems suaugusiems gydyti skirtas vaistas. Jį buvo numatyta vartoti kartu su riluzolu (kitu vaistu nuo ŠAS). ŠAS yra progresuojanti nervų sistemos liga, kuria sergant galvos ir stuburo smegenų nervinės ląstelės, kontroliuojančios valingus judesius, laipsniškai degeneruoja, dėl to silpnėja raumenų funkcija ir išsivysto paralyžius.

Masitinib AB Science sudėtyje yra veikliosios medžiagos mazitinibo mesilato ir jis turėjo būti tiekiamas tablečių forma.

2016 m. rugpjūčio 29 d. Masitinib AB Science priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai pagal ŠAS gydymo indikaciją. Daugiau informacijos apie vaistų priskyrimą retųjų vaistų kategorijai rasite Agentūros tinklalapyje adresu: 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



Kaip veikia Masitinib AB Science?

Veiklioji Masitinib AB Science medžiaga mazitinibo mesilatas yra baltymo kinazės inhibitorius. Tai reiškia, kad jis slopina tam tikrus fermentus, vadinamus baltymų kinazėmis. Šių fermentų slopinimas veikia tam tikrą imuninės sistemos (natūralios organizmo apsaugos) ląstelių, dalyvaujančių uždegime, aktyvumą. Buvo tikimasi, kad slopindamas šiuos fermentus, mazitinibo mesilatas sumažins uždegimą ir apsaugos nervų ląsteles nuo pažeidimo, taip sulėtindamas ALS simptomų ūmėjimą.

Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Bendrovė pateikė pagrindinio tyrimo, kuriame dalyvavo 394 ŠAS sergantys suaugusieji, rezultatus. Pacientai vartojo Masitinib AB Science arba placebo (preparatą be veikliosios medžiagos) du kartus per parą 48 savaites. Visi pacientai taip pat vartojo riluzolą. Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo ALSFRS-R balo – ŠAS simptomų, turinčių įtakos kasdieniam pacientų gyvenimui, matas – pokytis per 48 savaites.

Kokios buvo pagrindinės priežastys, dėl kurių rekomenduota neišduoti registracijos pažymėjimo?

Atlikdama pirminį vertinimą Agentūra laikėsi nuomonės, kad tyrimo duomenys buvo nepatikimi, nes EMA ir kitų reguliavimo institucijų koordinuojamų gerosios klinikinės praktikos (GKP) patikrinimų išvadose buvo nustatyta tyrimo eigos trūkumų, kurių bendrovė negalėjo tinkamai išspręsti. Be to, nebuvo įtikinamai įrodyta Masitinib AB Science nauda; atlikus tyrimą, nenustatyta jokių vaisto ir placebo skirtumų pagal pagrindinį veiksmingumo bendrai tyrimo populiacijai rodiklį, be to, tyrimas turėjo keletą metodologinių trūkumų.

Iš naujo išnagrinėjus pateiktus duomenis ir pasikonsultavus su neurologijos ekspertų grupe bei pacientų atstovais, šie susirūpinimą keliantys klausimai liko. Priimdama galutinį sprendimą Agentūra taip pat atsižvelgė į informaciją, kuria dalijasi pacientų organizacijos (vadinamasis trečiųjų šalių įsitraukimas).

Todėl agentūra nepakeitė savo nuomonės, kad Masitinib AB Science nauda nėra didesnė už jo keliamą riziką, ir rekomendavo nesuteikti jo registracijos pažymėjimo.

Ar šis atsisakymas turės įtakos pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose?

Bendrovė pranešė Agentūrai, kad tai neturės jokių pasekmių pacientams, dalyvaujantiems Masitinib AB Science klinikiniuose tyrimuose.

Jei dalyvaujate klinikiniame tyrime ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie Jums taikomą gydymą, pasitarkite su klinikinio tyrimo gydytoju.