

EMA/207380/2018 Rev. 2  
EMA/H/C/004398  
2018. gada 1. jūnijs

## Alsitek (masitinibs) reģistrācijas apliecības atteikums

Cilvēkiem paredzēto zāļu komiteja (CHMP) 2018. gada 18. aprīlī pieņēma negatīvu atzinumu, iesakot atteikt reģistrācijas apliecības izsniegšanu zālēm Alsitek, kas paredzētas amiotrofās laterālās sklerozes (ALS) ārstēšanai.

Uzņēmums, kas iesniedza reģistrācijas apliecības pieteikumu, ir AB Science. Tas pieprasīja atkārtoti izvērtēt atzinumu, bet vēlāk atsauca savu prasību.

### Kas ir Alsitek?

Alsitek ir zāles, kas satur aktīvo vielu masitinibu. Bija paredzēts, ka tās būs pieejamas tablešu veidā.

### Kādam nolūkam bija paredzēts lietot Alsitek?

Alsitek bija paredzēts lietot amiotrofās laterālās sklerozes (ALS) ārstēšanai. ALS ir progresējoša nervu sistēmas slimība, kuras gadījumā pakāpeniski novājinās galvas un muguras smadzeņu nervu šūnas, kas kontrolē apzinātās kustības, tā izraisot muskuļu darbības zudumu un paralīzi. Alsitek bija paredzēts lietot kopā ar riluzolu, citām zālēm ALS ārstēšanai.

2016. gada 29. augustā Alsitek apstiprināja kā zāles retu slimību ārstēšanai, lai ārstētu ALS. Sīkāka informācija par zāļu apzīmējumu reti sastopamu slimību ārstēšanai ir pieejama [šeit](#).

### Kā Alsitek darbojas?

Tiek uzskatīts, ka Alsitek darbojas, samazinot galvas smadzeņu galveno imūnšūnu (aizsargšūnu) mikrogliju un balto asins šūnu paveida tuklo šūnu aktivitāti. Mikroglijas un tuklās šūnas ir nozīmīgas nervu iekaisuma un bojājumu procesā ALS pacientiem. Paredzams, ka, samazinot šo šūnu aktivitāti, zāles mazinās nervu iekaisumu un bojājumus un tādējādi palēninās pacienta simptomu pasliktināšanās.

## **Kādus dokumentus uzņēmums iesniedza pieteikuma pamatošanai?**

Pieteikuma iesniedzējs iesniedza rezultātus no viena pamatpētījuma, kurā piedalījās 394 ALS pacienti un Alsitek tika salīdzinātas ar placebo (zāļu imitāciju), abos gadījumos lietojot kopā ar riluzolu. Galvenais efektivitātes kritērijs bija pacientu simptomu izmaiņas pēc 48 nedēļas ilgas ārstēšanas, vērtējot pēc ALS standarta skalas.

## **Kādas bija CHMP galvenās bažas, kuru dēļ tika pieņemts atteikums?**

CHMP secināja, ka pamatpētījumā ar ALS pacientiem netika pierādīta Alsitek efektivitāte slimības progresēšanas palēnināšanā. Lai gan pacientu grupai, kam slimības stāvoklis pasliktinājās normālā ātrumā, tika novērota labvēlīga ietekme uz simptomiem, salīdzinot ar pacientiem, kuriem slimības stāvoklis pasliktinājās strauji, CHMP uzskatīja, ka šāda pacientu klasificēšana bija apzināta un neatspoguļo klīnisko praksi. Nebija arī neviena pamatojuma, kāpēc šīs zāles iedarbojas vienai pacientu grupai, bet neiedarbojas citām grupām.

Turklāt divu pētījuma centru inspekcijā tika konstatēti trūkumi pētījuma izpildē, kas radīja šaubas par datu integritāti.

Visbeidzot komitejai bija iebildumi pret veidu, kā tika apstrādāti dati par pacientiem, kuri izstājās no pētījuma, jo tas varētu neobjektīvi atspoguļot rezultātus Alsitek labā.

Tādēļ CHMP uzskatīja, ka šis pētījums nesniedz pietiekamus pierādījumus par Alsitek ieguvumiem, un ieteica neizsniegt šo zāļu reģistrācijas apliecību.

## **Kādas sekas šis atteikums radīs pacientiem, kuri piedalās klīniskajos pētījumos vai līdzietīgas zāļu lietošanas programmās?**

Uzņēmums informēja CHMP, ka šis lēmums neietekmēs pacientus, kuri pašlaik piedalās klīniskajos pētījumos vai līdzietīgas zāļu lietošanas programmās.

Ja Jūs pašreiz piedalāties klīniskajā pētījumā vai līdzietīgas zāļu lietošanas programmā un vēlaties saņemt plašāku informāciju par terapiju, jautāiet ārstam, kas Jums to izraksta.