



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2024. gada 18. oktobrī
EMA/472277/2024
EMA/H/C/005897

Masitinib AB Science (masitiniba mesilāts) reģistrācijas apliecības atteikums

Atteikums apstiprināts pēc atkārtotas pārskatīšanas

Pēc sākotnējā atzinuma atkārtotas pārskatīšanas Eiropas Zāļu aģentūra apstiprināja savu ieteikumu atteikt reģistrācijas apliecības izsniegšanu zālēm *Masitinib AB Science*, zālēm, kas paredzētas amiotrofiskās laterālās sklerozes (ALS) ārstēšanai.

Aģentūra izdeva atzinumu pēc atkārtotas pārskatīšanas 2024. gada 17. oktobrī. Sākotnējo atzinumu aģentūra izdeva 2024. gada 27. jūnijā. Uzņēmums, kas iesniedza reģistrācijas pieteikumu *Masitinib AB Science*, ir *AB Science*.

Kas ir *Masitinib AB Science* un kādam nolūkam tās bija paredzēts lietot?

Masitinib AB Science tika izstrādāta kā zāles, lai ārstētu pieaugušos ar ALS. Tās bija paredzēts lietot kombinācijā ar riluzolu (citām zālēm ALS ārstēšanai). ALS ir nervu sistēmas slimība, kuras gadījumā pakāpeniski novājinās galvas un muguras smadzeņu nervu šūnas, kas kontrolē apzinātās kustības, un tādējādi izraisa muskuļu darbības zudumu un paralīzi.

Masitinib AB Science satur aktīvo vielu mazitiniba mesilātu, un bija paredzēts, ka šīs zāles būs pieejamas tabletēs.

Masitinib AB Science 2016. gada 29. augustā ALS ārstēšanai tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama Eiropas Zāļu aģentūras tīmekļa vietnē:
ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161722.

Kā *Masitinib AB Science* darbojas?

Masitinib AB Science aktīvā viela mazitiniba mesilāts ir proteīna-kināzes inhibitors. Tas nozīmē, ka tas bloķē specifiskus fermentus, ko dēvē par proteīna kināzēm. Šo fermentu bloķēšana ietekmē dažu iekaisumā iesaistīto imūnsistēmas šūnu (organisma dabiskās aizsargsistēmas) aktivitāti. Bija paredzēts, ka, bloķējot šos fermentus, mazitiniba mesilāts mazinās iekaisumu un aizsargās nervu šūnas no bojājumiem, tādējādi palēninot ALS simptomu pasliktināšanos.

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



Kādus dokumentus uzņēmums iesniedza pieteikuma pamatošanai?

Uzņēmums iesniedza rezultātus no pamatpētījuma, kurā piedalījās 394 pieaugušie ar ALS. Pacienti saņēma *Masitinib AB Science* vai placebo (fiktīvu ārstēšanu) divas reizes dienā 48 nedēļas. Visi pacienti saņēma arī riluzolu. Galvenais efektivitātes rādītājs bija izmaiņas 48 nedēļu laikā ALSFRS-R skalā, kas ir ALS simptomu mērs, kas ietekmē pacientu ikdienas dzīvi.

Kādi bija galvenie iemesli reģistrācijas apliecības atteikumam?

Sākotnējās novērtēšanas laikā aģentūra uzskatīja, ka pētījuma dati nav ticami, jo EMA un citu regulatīvo iestāžu koordinētajos labas klīniskās prakses (LKP) pārbaūžu konstatējumos bija identificētas problēmas saistībā ar pētījuma veikšanu, kuras uzņēmums nevarēja pietiekami novērst. Turklāt *Masitinib AB Science* ieguvumus nevarēja pārliecinoši pierādīt; pētījumā netika konstatēta atšķirība starp zālēm un placebo galvenajā efektivitātes mērījumā visai pētījuma grupai, un tam bija vairākas metodoloģiskas problēmas.

Šīs bažas nemainījās pēc iesniegto datu atkārtotas izvērtēšanas un pēc apspriešanās ar neiroloģijas ekspertu grupu, kā arī pacientu pārstāvjiem. Pieņemot galīgo lēmumu, Aģentūra arī apsvēra pacientu organizāciju kopīgoto informāciju (tā sauktie trešo personu intervences pasākumi).

Tādēļ aģentūra palika pie sava atzinuma, ka *Masitinib AB Science* sniegtie ieguvumi neatsver to radīto risku, un ieteica atteikt reģistrācijas apliecības izsniegšanu.

Vai šis atteikums ietekmē pacientus, kuri piedalās klīniskajos pētījumos?

Uzņēmums informēja aģentūru, ka tas neietekmēs pacientus, kuri pašlaik piedalās *Masitinib AB Science* klīniskajos pētījumos.

Ja jūs pašreiz piedalāties klīniskā pētījumā un vēlaties saņemt plašāku informāciju par ārstēšanu, konsultējieties ar savu klīniskā pētījuma ārstu.