



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Weigering van de vergunning voor het in de handel brengen van Masitinib AB Science (masitinib mesilaat)

Heronderzoek bevestigt weigering

Na heronderzoek van zijn oorspronkelijke advies heeft het Europees Geneesmiddelenbureau zijn aanbeveling bevestigd om geen vergunning te verlenen voor het in de handel brengen van het geneesmiddel Masitinib AB Science, een geneesmiddel dat bedoeld is voor de behandeling van amyotrofe laterale sclerose (ALS).

Het Geneesmiddelenbureau heeft zijn advies na heronderzoek uitgebracht op 17 oktober 2024. Het Geneesmiddelenbureau had zijn oorspronkelijke advies uitgebracht op 27 juni 2024. Het bedrijf dat een vergunning voor Masitinib AB Science had aangevraagd, is AB Science.

Wat is Masitinib AB Science en waarvoor was het bedoeld?

Masitinib AB Science werd ontwikkeld als geneesmiddel voor de behandeling van volwassenen met ALS. Het was bedoeld om te worden gebruikt in combinatie met riluzol (een ander middel voor de behandeling van ALS). ALS is een progressieve ziekte van het zenuwstelsel waarbij zenuwcellen in de hersenen en het ruggenmerg die de willekeurige bewegingen besturen, geleidelijk verslechteren, met verlies van de spierfunctie en verlamming als gevolg.

Masitinib AB Science bevat de werkzame stof masitinib mesilaat en zou verkrijgbaar zijn in de vorm van tabletten.

Masitinib AB Science werd op 29 augustus 2016 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame ziekten) voor de behandeling van ALS. Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u op de website van het Geneesmiddelenbureau: 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



Hoe werkt Masitinib AB Science?

De werkzame stof in Masitinib AB Science, masitinib mesilaat, is een proteïnekinaseremmer. Dit is een stof die specifieke enzymen blokkeert die bekend staan als proteïnekinasen. Door deze enzymen te blokkeren wordt de activiteit van bepaalde cellen van het immuunsysteem (de natuurlijke afweer van het lichaam) beïnvloed die bij ontsteking betrokken zijn. Verwacht werd dat masitinib mesilaat, door deze enzymen te blokkeren, de ontsteking zou verminderen en de zenuwcellen tegen beschadiging zou beschermen, waardoor de verergering van ALS-symptomen zou worden vertraagd.

Welke documentatie heeft het bedrijf ingediend ter onderbouwing van de aanvraag?

Het bedrijf heeft resultaten overgelegd van een hoofdstudie onder 394 volwassenen met ALS. Patiënten kregen gedurende 48 weken tweemaal daags Masitinib AB Science of placebo (een schijnbehandeling) toegediend. Alle patiënten kregen ook riluzol. De voornaamste graadmeter voor de werkzaamheid was de verandering over een periode van 48 weken in de ALSFRS-R-score, een maatstaf voor ALS-symptomen die het dagelijks leven van patiënten beïnvloeden.

Wat waren de voornaamste redenen om de handelsvergunning te weigeren?

Ten tijde van de eerste beoordeling was het Geneesmiddelenbureau van mening dat de onderzoeksgegevens niet betrouwbaar waren, aangezien de bevindingen van door het Bureau en andere regelgevende instanties gecoördineerde inspecties op het gebied van goede klinische praktijken (GCP) problemen met de uitvoering van het onderzoek aan het licht hadden gebracht die door het bedrijf niet afdoende konden worden verholpen. Bovendien konden de voordelen van Masitinib AB Science niet op overtuigende wijze worden aangetoond – in de studie werd geen verschil vastgesteld tussen het geneesmiddel en placebo bij de belangrijkste graadmeter voor de werkzaamheid voor de totale onderzoekspopulatie en werden verschillende methodologische problemen vastgesteld.

Deze punten van zorg zijn niet veranderd na heronderzoek van de verstrekte gegevens en na raadpleging van een groep deskundigen op het gebied van de neurologie en van patiëntenvertegenwoordigers. Bij het nemen van zijn definitieve besluit heeft het Bureau ook rekening gehouden met informatie die door patiëntenorganisaties werd gedeeld (zogenaamde interventies door derden).

Het Geneesmiddelenbureau bleef daarom bij zijn mening dat de voordelen van Masitinib AB Science niet opwogen tegen de risico's ervan en adviseerde om de handelsvergunning te weigeren.

Heeft deze weigering gevolgen voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven?

Het bedrijf heeft het Geneesmiddelenbureau meegedeeld dat er geen gevolgen zijn voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven met Masitinib AB Science.

Indien u deelneemt aan een klinische proef en meer informatie wenst over uw behandeling, neem dan contact op met uw onderzoeksarts.