



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18 października 2024 r.  
EMA/472277/2024  
EMA/H/C/005897

## Odmowa wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu dla leku Masitinib AB Science (mezylan masytynibu)

### Potwierdzenie decyzji odmownej po ponownym rozpatrzeniu opinii

Po ponownym rozpatrzeniu swojej wstępnej opinii Europejska Agencja Leków potwierdziła swoje zalecenie dotyczące odmowy przyznania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu dla leku Masitinib AB Science, przeznaczonego do leczenia stwardnienia zanikowego bocznego (ang. *amyotrophic lateral sclerosis*, ALS).

Po przeprowadzeniu ponownej oceny w dniu 17 października 2024 r. Agencja wydała opinię. Agencja wydała wstępną opinię w dniu 27 czerwca 2024 r. Firmą, która złożyła wniosek o dopuszczenie do obrotu leku Masitinib AB Science jest AB Science.

### Co to jest lek Masitinib AB Science i w jakim celu miał być stosowany?

Lek Masitinib AB Science opracowano jako lek stosowany w leczeniu ALS u osób dorosłych. Miał on być stosowany w skojarzeniu z riluzolem (innym lekiem stosowanym w leczeniu ALS). ALS jest postępującą chorobą układu nerwowego, w przebiegu której komórki nerwowe w mózgu i rdzeniu kręgowym kontrolujące dobrowolne ruchy mięśni ulegają stopniowemu uszkodzeniu, co prowadzi do utraty czynności i porażenia mięśni.

Substancją czynną zawartą w leku Masitinib AB Science jest mezylan masytynibu i miał on być dostępny w postaci tabletek.

W dniu 29 sierpnia 2016 r. lek Masitinib AB Science uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w leczeniu ALS. Więcej informacji na temat uznania za lek sierocy można znaleźć na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161722](https://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](https://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](https://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Jak działa lek Masitinib AB Science?**

Substancją czynną leku Masitinib AB Science, mezylan masytynibu, jest inhibitorem kinazy białkowej. Oznacza to, że blokuje ona określone enzymy znane jako kinazy białkowe. Blokowanie tych enzymów wpływa na aktywność niektórych komórek układu odpornościowego (naturalnych mechanizmów obronnych organizmu) uczestniczących w procesie zapalnym. Dzięki blokowaniu tych enzymów mezylan masytynibu miał zmniejszać stan zapalny i chronić komórki nerwowe przed uszkodzeniem, spowalniając w ten sposób nasilanie się objawów ALS.

## **Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?**

Firma przedstawiła wyniki badania głównego z udziałem 394 osób dorosłych z ALS. Pacjentom podawano lek Masitinib AB Science lub placebo (leczenie pozorowane) dwa razy dziennie przez 48 tygodni. Wszyscy pacjenci otrzymywali również riluzol. Głównym kryterium oceny skuteczności była zmiana wyniku ALSFRS-R w ciągu 48 tygodni, czyli miara objawów ALS, które wpływają na codzienne życie pacjentów.

## **Jakie były główne powody odmowy wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu?**

W momencie wstępnej oceny Agencja uznała, że dane z badania nie są wiarygodne, ponieważ ustalenia z kontroli w ramach dobrej praktyki klinicznej (ang. *good clinical practice*, GCP) koordynowanych przez EMA i inne organy regulacyjne wykazały problemy związane z prowadzeniem badania, których firma nie mogła w wystarczającym stopniu rozwiązać. Ponadto nie można było w przekonujący sposób wykazać korzyści ze stosowania leku Masitinib AB Science – w badaniu nie stwierdzono różnic między lekiem a placebo w głównym kryterium oceny skuteczności dla całej badanej populacji; badanie to miało kilka problemów metodologicznych.

Obawy te nie uległy zmianie po ponownym rozpatrzeniu dostarczonych danych i po konsultacji z grupą ekspertów w dziedzinie neurologii, a także z przedstawicielami pacjentów. Podejmując ostateczną decyzję, Agencja wzięła również pod uwagę informacje przekazane przez organizacje pacjentów (tzw. interwencje stron trzecich).

W związku z tym Agencja podtrzymała swoją opinię, że korzyści ze stosowania leku Masitinib AB Science nie przewyższają ryzyka, i zaleciła odmowę przyznania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.

## **Czy ta odmowa ma wpływ na pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych?**

Firma powiadomiła Agencję, że nie ma żadnych skutków dla pacjentów obecnie biorących udział w badaniach klinicznych z użyciem leku Masitinib AB Science.

W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych i potrzeby uzyskania dokładniejszych informacji o leczeniu należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym.