



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/207380/2018 Rev. 2
EMA/H/C/004398
1 de junho de 2018

Recusa da autorização de introdução no mercado para Alsitek (masitinib)

Em 18 de abril de 2018, o Comité dos Medicamentos para Uso Humano (CHMP) adotou um parecer negativo e recomendou a recusa da autorização de introdução no mercado para o medicamento Alsitek, destinado ao tratamento da esclerose lateral amiotrófica (ELA).

A empresa que apresentou o pedido de autorização de introdução no mercado é a AB Science. A empresa tinha solicitado um reexame do parecer, mas retirou posteriormente o seu pedido.

O que é o Alsitek?

O Alsitek é um medicamento que contém a substância ativa masitinib. O medicamento iria ser disponibilizado na forma de comprimidos.

Qual a utilização prevista para o Alsitek?

Previa-se que o Alsitek fosse utilizado no tratamento da esclerose lateral amiotrófica (ELA). A ELA é uma doença progressiva do sistema nervoso, na qual as células nervosas do cérebro e da medula espinal que controlam o movimento voluntário se deterioram gradualmente, causando perda da função muscular e paralisia. O Alsitek iria ser utilizado em associação com riluzol, outro medicamento para o tratamento da ELA.

O Alsitek foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 29 de agosto de 2016 para o tratamento da ELA. Pode obter informações adicionais sobre a designação de medicamento órfão [aqui](#).

Como funciona o Alsitek?

Pensa-se que o Alsitek atua reduzindo a atividade das micróglia, as principais células imunitárias (de defesa) do cérebro, e dos mastócitos, um tipo de glóbulos brancos. As micróglia e os mastócitos podem desempenhar um papel na inflamação e nos danos nos nervos em doentes com ELA. Ao reduzir



a sua atividade, prevê-se que o medicamento reduz a inflamação e os danos nos nervos, abrandando assim o agravamento dos sintomas do doente.

Que documentação foi apresentada pela empresa a acompanhar o pedido?

O requerente apresentou os resultados de um estudo principal que incluiu 394 doentes com ELA, no qual o Alsitek foi comparado com placebo (um tratamento simulado), ambos tomados em associação com riluzol. O principal parâmetro de eficácia foi a alteração dos sintomas dos doentes após 48 semanas de tratamento, avaliados através de uma escala padrão para a ELA.

Quais foram as principais preocupações do CHMP que levaram à recusa?

O CHMP concluiu que o estudo principal realizado em doentes com ELA não demonstrou que o Alsitek é eficaz no abrandamento da progressão da doença. Embora se tenha observado um efeito positivo nos sintomas no grupo de doentes cuja doença se agravou a um ritmo normal, em comparação com os doentes cuja doença se agravou rapidamente, o CHMP considerou que este modo de classificação dos doentes era arbitrário e não refletia a prática clínica. Além disso, não havia qualquer razão para o facto de o medicamento atuar num grupo de doentes e noutros não.

Por outro lado, uma inspeção realizada em dois dos centros do estudo revelou deficiências no modo como o estudo foi conduzido, o que suscita dúvidas quanto à integridade dos dados.

Por último, o Comité estava preocupado com o modo como os dados dos doentes que interromperam o tratamento foram tratados, que poderia ter influenciado os resultados a favor do Alsitek.

Por conseguinte, o CHMP considerou que o estudo não fornecia evidências suficientes dos benefícios do Alsitek e recomendou a recusa da autorização de introdução no mercado.

Quais as consequências desta recusa para os doentes incluídos em ensaios clínicos ou programas de uso compassivo?

A empresa informou o CHMP de que não existem consequências para os doentes incluídos em ensaios clínicos ou programas de uso compassivo.

Se estiver incluído num ensaio clínico ou num programa de uso compassivo e necessitar de informação adicional sobre o tratamento, contacte o médico que lhe receitou o medicamento.