



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18 de outubro de 2024  
EMA/472277/2024  
EMA/H/C/005897

## Recusa da Autorização de Introdução no Mercado para Masitinib AB Science (mesilato de masitinib)

### Reexame confirma recusa

Após reexaminar o seu parecer inicial, a Agência Europeia de Medicamentos confirmou a sua recomendação de recusa da Autorização de Introdução no Mercado para o medicamento Masitinib AB Science, um medicamento destinado ao tratamento da esclerose lateral amiotrófica (ELA).

A Agência emitiu o seu parecer após reexame em 17 de outubro de 2024. A Agência emitiu o seu parecer inicial em 27 de junho de 2024. A empresa que apresentou o pedido de Autorização de Introdução no Mercado para o Masitinib AB Science é a AB Science.

### O que é o Masitinib AB Science e qual a utilização prevista?

O Masitinib AB Science foi desenvolvido como um medicamento para o tratamento de adultos com ELA. Destinava-se a ser utilizado em associação com riluzol (outro medicamento para a 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 Masitinib AB Science contém a substância ativa mesilato de masitinib e iria ser disponibilizado na forma de comprimidos.

O Masitinib AB Science 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 no sítio Internet da Agência:  
[ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161722](https://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161722).



## **Como funciona o Masitinib AB Science?**

A substância ativa do Masitinib AB Science, o mesilato de masitinib, é um inibidor da proteína cinase. Isto significa que bloqueia enzimas específicas conhecidas como proteínas cinases. O bloqueio destas enzimas afeta a atividade de determinadas células do sistema imunitário (as defesas naturais do organismo) envolvidas na inflamação. Ao bloquear estas enzimas, esperava-se que o mesilato de masitinib reduzisse a inflamação e protegesse as células nervosas de lesões, abrandando assim o agravamento dos sintomas da ELA.

## **Que documentação foi apresentada pela empresa a acompanhar o pedido?**

A empresa apresentou os resultados de um estudo principal que incluiu 394 adultos com ELA. Os doentes receberam o Masitinib AB Science ou um placebo (um tratamento simulado) duas vezes por dia durante 48 semanas. Todos os doentes também receberam riluzol. O principal parâmetro de eficácia foi a alteração, ao longo de 48 semanas, da pontuação ALSFRS-R, uma medida dos sintomas da ELA que afetam a vida diária dos doentes.

## **Quais foram as principais razões para a recusa da Autorização de Introdução no Mercado?**

No momento da avaliação inicial, a Agência considerou que os dados do estudo não eram fiáveis, uma vez que os resultados de inspeções de boas práticas clínicas (BPC) coordenadas pela EMA e por outras autoridades reguladoras tinham identificado problemas na realização do estudo que não podiam ser suficientemente resolvidos pela empresa. Além disso, não foi possível demonstrar de forma convincente os benefícios do MasiMasitinib AB Science; o estudo não encontrou qualquer diferença entre o medicamento e o placebo no principal parâmetro de eficácia para a população total do estudo e teve várias questões metodológicas.

Estas preocupações não se alteraram após o reexame dos dados fornecidos e após a consulta de um grupo de peritos em neurologia, bem como dos representantes dos doentes. Para chegar à sua decisão final, a Agência também considerou informações partilhadas por organizações de doentes (as chamadas intervenções de terceiros).

Por conseguinte, a Agência manteve o seu parecer de que os benefícios do Masitinib AB Science não eram superiores aos seus riscos e recomendou a recusa da autorização de introdução no mercado.

## **Esta recusa afeta os doentes em ensaios clínicos?**

A empresa informou a Agência de que não existem consequências para os doentes incluídos em ensaios clínicos com o Masitinib AB Science.

Se estiver incluído num ensaio clínico e necessitar de mais informações sobre o seu tratamento, fale com o seu médico do ensaio clínico.