



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Refuzul autorizării de punere pe piață pentru Masitinib AB Science (mesilat de masitinib)

Reexaminarea confirmă refuzul

În urma reexaminării avizului său inițial, Agenția Europeană pentru Medicamente a confirmat recomandarea de refuz al autorizării de punere pe piață pentru medicamentul Masitinib AB Science, un medicament destinat tratamentului sclerozei laterale amiotrofice (SLA).

Agenția a emis avizul după reexaminarea din 17 octombrie 2024. Agenția emisese avizul inițial la 27 iunie 2024. Compania care a solicitat autorizația pentru Masitinib AB Science este AB Science.

Ce este Masitinib AB Science și pentru ce era destinat?

Masitinib AB Science a fost elaborat ca medicament pentru tratarea adulților cu SLA. Era destinat a fi utilizat în asociere cu riluzol (alt medicament pentru SLA). SLA este o boală progresivă a sistemului nervos, în care celulele nervoase din creier și din măduva spinării care controlează mișcarea voluntară se deteriorează treptat, cauzând pierderea funcției musculare și paralizie.

Masitinib AB Science conține substanța activă mesilat de masitinib și urma să fie disponibil sub formă de comprimate.

Masitinib AB Science a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în boli rare) la data de 29 august 2016 pentru tratamentul SLA. Informații suplimentare privind desemnarea ca medicament orfan sunt disponibile pe site-ul agenției: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161722.

Cum acționează Masitinib AB Science?

Substanța activă din Masitinib AB Science, mesilatul de masitinib, este un inhibitor de proteinkinază. Aceasta înseamnă că blochează anumite enzime, numite kinaze proteice. Blocarea acestor enzime afectează activitatea anumitor celule ale sistemului imunitar (sistemul natural de apărare al organismului) implicate în inflamație. Prin blocarea acestor enzime, mesilatul de masitinib ar fi trebuit să reducă inflamația și să protejeze celulele nervoase împotriva deteriorării, încetinind astfel agravarea simptomelor SLA.

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



Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?

Compania a prezentat rezultatele unui studiu principal la care au participat 394 de adulți cu SLA. Pacienților li s-a administrat Masitinib AB Science sau placebo (un preparat inactiv) de două ori pe zi, timp de 48 de săptămâni. Toți pacienții au primit și riluzol. Principala măsură a eficacității a fost modificarea timp de 48 de săptămâni a scorului ALSFRS-R, o măsură a simptomelor SLA care afectează viața zilnică a pacienților.

Care au fost principalele motive pentru refuzul autorizării de punere pe piață?

La momentul evaluării inițiale, agenția a considerat că datele studiului nu erau fiabile, întrucât constatările inspecțiilor privind bunele practici clinice (BPC) coordonate de EMA și de alte autorități de reglementare identificaseră probleme legate de desfășurarea studiului care nu puteau fi abordate suficient de companie. În plus, beneficiile Masitinib AB Science nu au putut fi demonstrate în mod convingător; studiul nu a constatat nicio diferență între medicament și placebo în ceea ce privește principala măsură a eficacității pentru populația totală a studiului și avea mai multe probleme metodologice.

Aceste motive de îngrijorare nu s-au schimbat după reexaminarea datelor furnizate și în urma consultării unui grup de experți în neurologie, precum și a reprezentanților pacienților. Pentru a ajunge la decizia finală, agenția a luat în considerare și informațiile comunicate de organizațiile pacienților (așa-numitele intervenții ale terților).

Prin urmare, agenția și-a menținut avizul conform căruia beneficiile Masitinib AB Science nu depășesc riscurile asociate și a recomandat refuzul autorizării de punere pe piață.

Refuzul afectează pacienții din studii clinice?

Compania a informat agenția că nu există consecințe pentru pacienții aflați în studii clinice cu Masitinib AB Science.

Dacă participați la un studiu clinic și aveți nevoie de informații suplimentare despre tratamentul dumneavoastră, adresați-vă medicului din cadrul studiului respectiv.