



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18. októbra 2024
EMA/472277/2024
EMA/H/C/005897

Zamietnutie povolenia na uvedenie na trh pre liek Masitinib AB Science (masitinib mesilát)

Opätovným preskúmaním sa potvrdilo zamietnutie

Po opätovnom preskúmaní svojho pôvodného stanoviska Európska agentúra pre lieky potvrdila svoje odporúčanie zamietnuť povolenie na uvedenie na trh pre liek Masitinib AB Science, čo je liek určený na liečbu amyotrofickej laterálnej sklerózy (ALS).

Agentúra vydala svoje stanovisko po opätovnom preskúmaní 17. októbra 2024. Pôvodné stanovisko agentúra vydala 27. júna 2024. Spoločnosť, ktorá požiadala o povolenie lieku Masitinib AB Science, je AB Science.

Čo je liek Masitinib AB Science a na čo sa mal používať?

Liek Masitinib AB Science bol vyvinutý ako liek na liečbu dospelých s ALS. Liek bol určený na použitie v kombinácii s riluzolom (iným liekom na ALS). ALS je progresívne ochorenie nervového systému, pri ktorom nervové bunky v mozgu a mieche, ktoré riadia mimovoľný pohyb, postupne degenerujú, čo spôsobuje stratu svalovej funkcie a paralýzu.

Liek Masitinib AB Science obsahuje liečivo masitinib mesilát a mal byť dostupný vo forme tabliet.

Liek Masitinib AB Science bol 29. augusta 2016 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia (liek, ktorý sa používa pri zriedkavých chorobách) na liečbu ALS. Viac informácií o označovaní liekov ako lieky na zriedkavé choroby sa nachádza na webovom sídle agentúry: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161722.

Akým spôsobom liek Masitinib AB Science účinkuje?

Liečivo lieku Masitinib AB Science, masitinib mesilát, je inhibítor proteínkinázy. To znamená, že blokuje špecifické enzýmy známe ako proteínové kinázy. Zablokovanie týchto enzýmov ovplyvňuje aktivitu určitých buniek imunitného systému (prirodzenej obrany tela), ktoré sa podieľajú na zápale. Predpokladá sa, že zablokovaním týchto enzýmov masitinib mesilát znižuje zápal a chráni nervové bunky pred poškodením, čím sa spomaľuje zhoršovanie príznakov ALS.



Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Spoločnosť predložila výsledky hlavnej štúdie, na ktorej sa zúčastnilo 394 dospelých pacientov s ALS. Pacientom sa podával liek Masitinib AB Science alebo placebo (zdanlivý liek) dvakrát denne počas 48 týždňov. Všetci pacienti dostávali aj riluzol. Hlavným meradlom účinnosti bola zmena skóre ALSFRS-R za 48 týždňov, čo je miera symptómov ALS, ktoré ovplyvňujú každodenný život pacientov.

Aké boli hlavné dôvody zamietnutia povolenia na uvedenie na trh?

Vo svojom prvom hodnotení agentúra usúdila, že údaje zo štúdie nie sú spoľahlivé, keďže zistenia z inšpekcií správnej klinickej praxe (GCP) koordinovaných agentúrou EMA a inými regulačnými orgánmi odhalili problémy s vykonávaním štúdie, ktoré spoločnosť nemohla dostatočne vyriešiť. Okrem toho prínosy lieku Masitinib AB Science nebolo možné presvedčivo preukázať; v štúdii sa nezistil žiadny rozdiel medzi liekom a placebom v hlavnom meraní účinnosti pre celkovú populáciu štúdie a v štúdii sa vyskytlo niekoľko metodických problémov.

Tieto výhrady sa nezmenili po opätovnom preskúmaní poskytnutých údajov a po konzultácii so skupinou odborníkov v neurológii, ako aj so zástupcami pacientov. Pri dosahovaní konečného rozhodnutia agentúra vzala do úvahy aj informácie, ktoré poskytli organizácie pacientov (tzv. zásahy tretích strán).

Agentúra preto trvá na svojom stanovisku, že prínosy lieku Masitinib AB Science neprevyšujú jeho riziká, a odporúča zamietnuť povolenie na uvedenie na trh.

Má zamietnutie žiadosti dôsledky pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúšaniach?

Spoločnosť informovala agentúru, že pre pacientov používajúcich liek Masitinib AB Science, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúšaniach, nevyplývajú žiadne dôsledky.

Ak ste však účastníkom klinického skúšania a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.