

EMA/207380/2018 Rev. 2
EMA/H/C/004398
1 juni 2018

Avslag på ansökan om godkännande för försäljning av Alsitek (masitinib)

Den 18 april 2018 antog kommittén för humanläkemedel, CHMP, ett negativt ställningstagande med rekommendationen att avslå ansökan om godkännande för försäljning av läkemedlet Alsitek, som var avsett för behandling av amyotrofisk lateralskleros (ALS).

Företaget som ansökte om godkännandet är AB Science. Det hade begärt en förnyad prövning av yttrandet men drog senare tillbaka sin begäran.

Vad är Alsitek?

Alsitek är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen masitinib. Det skulle finnas som tabletter.

Vad skulle Alsitek användas för?

Alsitek skulle användas för att behandla amyotrofisk lateralskleros (ALS). ALS är en fortskridande sjukdom i nervsystemet vid vilken nervceller i hjärnan och ryggmärgen som kontrollerar frivilliga rörelser gradvis försämras, med förlorad muskelfunktion och förlamning som följd. Alsitek skulle användas i kombination med riluzol, ett annat läkemedel för ALS.

Den 29 augusti 2016 klassificerades Alsitek som särlekemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) för behandling av ALS. Mer information om klassificeringen som särlekemedel finns [här](#).

Hur verkar Alsitek?

Man tror att Alsitek verkar genom att minska aktiviteten av mikroglia, hjärnans främsta immunceller (försvar), och av mastceller, ett slags vita blodkroppar. Mikroglia och mastceller kan delta i inflammationen och skada nerverna hos patienter med ALS. Genom att minska deras aktivitet förväntas läkemedlet minska inflammationen och skadan på nerverna, och därigenom bromsa försämringen av patientens symtom.

Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Sökanden lämnade in resultaten från en huvudstudie innefattande 394 patienter med ALS vid vilken Alsitek jämfördes med placebo (en överksam behandling), där båda togs tillsammans med riluzol. Det viktigaste effektmåttet var förändringen av patienternas symtom efter 48 veckors behandling, vilket bedömdes med hjälp av en standardskala för ALS.

Vad var det som främst fick CHMP att rekommendera avslag av ansökan?

CHMP fann att huvudstudien på patienter med ALS inte visade att Alsitek är effektivt när det gäller att sakta ner sjukdomsförloppet. Även om en positiv effekt sågs på symtomen i gruppen med patienter vars sjukdom försämrades med normal hastighet jämfört med dem vars sjukdom snabbt försämrades, fann CHMP att detta sätt att klassificera patienter var godtyckligt och inte återspeglar den kliniska praxisen. Dessutom saknades det anledning till att läkemedlet skulle verka i en grupp patienter och inte i andra.

En inspektion på två av platserna för studien visade dessutom på brister i sättet att utföra studien, vilket kastar tvivel på uppgifternas integritet.

Slutligen hyste kommittén farhågor över sättet som data från patienter som avbröt behandlingen hanterades, vilket kan ha snedvridit resultaten till Alsiteks fördel.

Därför ansåg CHMP att studien inte gav tillförlitliga bevis för nyttan av Alsitek och rekommenderade att ansökan om godkännande för försäljning skulle avslås.

Vilka följder får återkallandet för patienter som deltar i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program?

Företaget informerade CHMP om att beslutet inte får några följder för patienter i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program.

Om du deltar i en klinisk prövning eller ett s.k. compassionate use-program och behöver mer information om din behandling kan du kontakta den läkare som ger dig läkemedlet.