



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Avslag på ansökan om godkännande för försäljning av Masitinib AB Science (masitinibmesilat)

Förnyad prövning bekräftar avslaget

Efter att ha omprövat sitt ursprungliga yttrande har Europeiska läkemedelsmyndigheten bekräftat sin rekommendation att avslå ansökan om godkännande för försäljning av läkemedlet Masitinib AB Science, ett läkemedel avsett för behandling av amyotrofisk lateralskleros (ALS).

Myndigheten utfärdade sitt yttrande den 17 oktober 2024 efter förnyad prövning. Myndigheten hade utfärdat sitt ursprungliga yttrande den 27 juni 2024. Företaget som ansökte om godkännande för Masitinib AB Science är AB Science.

Vad är Masitinib AB Science och vad var det avsett för?

Masitinib AB Science utvecklades som ett läkemedel för att behandla vuxna med ALS. Det var avsett att användas i kombination med riluzol (ett annat läkemedel mot 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.

Masitinib AB Science innehåller den aktiva substansen masitinibmesilat och skulle finnas som tabletter.

Masitinib AB Science klassificerades som särlläkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 29 augusti 2016 för behandling av ALS. Mer information om klassificeringen som särlläkemedel finns på EMA:s webbplats: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161722.

Hur verkar Masitinib AB Science?

Den aktiva substansen i Masitinib AB Science, masitinibmesilat, är en proteinkinashämmare. Detta innebär att den blockerar specifika enzymer som kallas proteinkinaser. Blockering av dessa enzymer påverkar aktiviteten hos vissa celler i immunsystemet (kroppens naturliga försvar) som deltar i inflammation. Genom att blockera dessa enzymer förväntades masitinibmesilat minska inflammationen och skydda nervcellerna mot skador och därigenom bromsa försämringen av ALS-symtomen.

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



Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Företaget lämnade in resultat från en huvudstudie som omfattade 394 vuxna med ALS. Patienterna fick Masitinib AB Science eller placebo (overksam behandling) två gånger om dagen i 48 veckor. Samtliga patienter fick också riluzol. Huvudeffektmåttet var förändringen under 48 veckor av ALSFRS-R-poängen, ett mått på ALS-symtom som påverkar patienternas dagliga liv.

Vilka var de främsta skälen till att avslå ansökan om godkännande för försäljning?

Vid tidpunkten för den inledande utvärderingen ansåg läkemedelsmyndigheten att studieresultaten inte var tillförlitliga, eftersom resultat från inspektioner av god klinisk praxis som samordnats av EMA och andra tillsynsmyndigheter hade identifierat problem med genomförandet av studien som inte kunde åtgärdas av företaget i tillräcklig utsträckning. Dessutom kunde nyttan med Masitinib AB Science inte påvisas på ett övertygande sätt; studien fann ingen skillnad mellan läkemedlet och placebo i huvudeffektmåttet för hela studiepopulationen och det fanns flera metodproblem.

Dessa farhågor ändrades inte efter omprövning av de inlämnade uppgifterna och efter samråd med en grupp experter på neurologi och patientrepresentanter. När läkemedelsmyndigheten fattade sitt slutliga beslut beaktade den också information från patientorganisationer (så kallade tredjepartsinterventioner).

Myndigheten stod därför fast vid sitt ställningstagande att nyttan med Masitinib AB Science inte var större än riskerna och rekommenderade avslag på ansökan om godkännande för försäljning.

Påverkar detta avslag patienter som deltar i kliniska prövningar?

Företaget informerade myndigheten om att återkallandet inte får några följder för patienter som deltar i kliniska prövningar med Masitinib AB Science.

Om du deltar i en klinisk prövning och behöver mer information om din behandling kan du kontakta läkaren i den kliniska prövningen.