



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25 април 2025 г.
EMA/128274/2025
EMA/H/C/006068

Оттегляне на заявлението за разрешаване за употреба на Dazluma (трорилузол хидрохлорид монохидрат)

Biohaven Bioscience Ireland Limited оттегли заявлението си за разрешаване за употреба на Dazluma за лечение на спиноцеребеларна атаксия, генотип 3 (SCA3), наследствено мозъчно нарушение, което засяга координацията и равновесието.

Фирмата оттегли заявлението си на 24 март 2025 г.

Какво представлява Dazluma и за какво е предназначен да се използва?

Dazluma се разработва като лекарство, което да се използва при възрастни за лечение на SCA3. По време на оценката фирмата е кандидатствала за разширяване на показанието, така че да включва всички форми на спиноцеребеларна атаксия. При спиноцеребеларна атаксия нервните клетки в малкия мозък (частта от мозъка, която управлява движението и равновесието) се увреждат и умират. Това води до прогресивни проблеми с координацията, речта, ходенето и равновесието.

Dazluma съдържа активното вещество трорилузол хидрохлорид монохидрат (troriluzole hydrochloride monohydrate) и е трябвало да се предлага под формата на капсули за прием през устата.

Dazluma е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, което се използва при редки болести) на 10 декември 2021 г. за лечение на спиноцеребеларна атаксия. Допълнителна информация за лекарствата сираци можете да намерите на [уебсайта на Агенцията](#):

Как действа Dazluma?

Активното вещество в Dazluma, трорилузол хидрохлорид монохидрат, е прекурсор на рилузол. Това означава, че в организма се преобразува в активната си форма рилузол.

Високите нива на глутамат, химично вещество, което позволява на нервните клетки да комуникират с други клетки, увеличават стимулацията на рецепторите (протеините) в малкия мозък. Това може да увеличи нивата на калций в нервните клетки, което може да доведе до смъртта им. Смята се, че механизмът на действие на трорилузол при спиноцеребеларна атаксия

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



намалява нивата на глутамат във връзките между нервните клетки. Това може да промени свръхвъзбудимостта на нервните клетки (когато нервните клетки стават прекалено чувствителни) в малкия мозък, което помага за контролиране на равновесието и координацията.

Какво е представила фирмата в подкрепа на своето заявление?

Фирмата е представила данни от основно проучване, обхващащо 218 възрастни с различни форми на спиноцеребеларна атаксия, включително SCA3, в което Dazluma е сравнен с плацебо (сляпо лечение). Основната мярка за ефективност е промяната в сериозността на симптомите, измерена с помощта на функционалната скала за оценка и степенуване на атаксията (f-SARA) след 48 седмици на лечение. С f-SARA се измерва способността на лицето да изпълнява задачи, които показват колко добре може да контролира движенията си и да поддържа равновесието си. Оценка варира от 0 до 16, като по-високите стойности показват по-тежка атаксия. По време на оценката фирмата представя също данни от практиката при пациенти със спиноцеребеларна атаксия, сравняващи прогресирането на заболяването при пациенти, лекувани с Dazluma, с това при нелекувани пациенти.

На какъв етап от оценката е заявлението към момента на оттеглянето?

Заявлението е оттеглено от фирмата, след като Европейската агенция по лекарствата е оценила информацията, представена от фирмата, и е изготвила въпроси за фирмата. След като Агенцията е оценила отговорите на фирмата на последната група въпроси, все още остават някои неразрешени проблеми.

Какви са препоръките на Агенцията към момента на оттеглянето?

Въз основа на прегледа на данните и отговорите на фирмата по въпросите на Агенцията, към момента на оттеглянето Агенцията има известни забележки и изразява предварителното становище, че Dazluma не може да бъде одобрен за лечение на спиноцеребеларна атаксия.

Тъй като резултатите от основното проучване не показват, че Dazluma е по-ефективен от плацебо за лечение на спиноцеребеларна атаксия, Агенцията счита, че от него не могат да се направят заключения. Фирмата сравнява също ефективността на Dazluma с данни от практиката при нелекувани пациенти. Въпреки това Агенцията счита, че резултатите от това сравнение не са валидни, тъй като неразгледани в анализа допълнителни фактори може да са повлияли на разликата в прогресията на заболяването между пациентите, лекувани с Dazluma, и нелекуваните пациенти. Поради това към момента на оттеглянето становището на Агенцията е, че ефективността на Dazluma за лечение на спиноцеребеларна атаксия не е доказана.

Фирмата е подала заявление Dazluma да бъде определен като ново активно вещество въз основа на това, че ефикасността и безопасността на активната му съставка се различават значително от тези на лекарство, което вече е разрешено за употреба в Европейския съюз (ЕС). Агенцията счита, че фирмата не е показала, че ефикасността или безопасността на трорилузол хидрохлорид монохидрат се различава значително от активната му форма, рилузол, която вече е разрешена за употреба като лекарство в ЕС. Поради това въз основа на представената до момента информация Агенцията не можа да заключи, че трорилузол хидрохлорид монохидрат е ново активно вещество.

Какви причини посочва фирмата за оттегляне на заявлението?

В [писмото](#), с което фирмата уведомява Агенцията за оттеглянето на заявлението, се посочва, че фирмата възнамерява да подготви допълнителни данни за признаване на ново активно вещество за трорилузол хидрохлорид монохидрат и възнамерява да подаде ново заявление, след като тези данни станат налични.

Какви са последствията от оттеглянето за пациентите, участващи в клинични изпитвания или програми с милосърдна цел?

Фирмата е уведомила Агенцията, че няма последствия за пациентите, включени понастоящем в клинични изпитвания с Dazluma. Фирмата започва програми с милосърдна цел.

Ако участвате в клинично изпитване и се нуждаете от повече информация за вашето лечение, говорете с вашия лекар, провеждащ клиничното изпитване.