



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13 октомври 2023 г.
EMA/500737/2023
EMA/H/C/005901

Отказ за разрешаване за употреба на Albrioza (*sodium phenylbutyrate/ursodoxicoltaurine*)

Отказът е потвърден след преразглеждането

След като преразгледа първоначалното си становище, Европейската агенция по лекарствата потвърди препоръката за отказ на разрешаването за употреба на лекарствения продукт Albrioza. Лекарството е предназначено за лечение на амиотрофична латерална склероза.

На 12 октомври 2023 г. Агенцията издаде становище след преразглеждането. Първоначалното становище на Агенцията е издадено на 22 юни 2023 г. Фирмата, подала заявление за разрешаване за употреба на Albrioza, е Amylyx Pharmaceuticals EMEA B.V.

Какво представлява Albrioza и за какво е предназначен?

Albrioza е разработен като лекарство за възрастни с амиотрофична латерална склероза (АЛС). АЛС е прогресивно заболяване на нервната система, при което нервните клетки в главния и гръбначния мозък, които контролират съзнателното движение, постепенно се увреждат, което води до загуба на мускулна функция и парализа. Лекарството съдържа две активни вещества — натриев фенилбутират (*sodium phenylbutyrate*) и урсодоксиколтаурин (*ursodoxicoltaurine*) и е трябвало да се предлага под формата на прах за разтваряне във вода и да се приема през устата.

Albrioza е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 4 юни 2020 г. за лечение на АЛС. Допълнителна информация за определянето на лекарството сирак можете да намерите на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2284.

Как действа Albrioza?

Не е напълно ясно как действа Albrioza, но се очаква двете активни вещества — натриев фенилбутират и урсодоксиколтаурин — да намалят увреждането на нервните клетки и да предотвратят тяхната смърт. Очаквало се е това да спомогне за поддържане на нормална мускулна функция и за забавяне влошаването на заболяването.

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



Какво е представила фирмата в подкрепа на своето заявление?

Фирмата е предоставила резултати от едно основно проучване, обхващащо 137 пациенти с АЛС, които са получавали или Albrioza, или плацебо (сляпо лечение) в допълнение към стандартното си лечение в продължение на 24 седмици. Основната мярка за ефективност е скоростта, при която симптомите на пациентите, като затруднения при говорене, дишане, хранене и извършване на други нормални ежедневни дейности, се влошават по време на проучването. Това е оценено чрез стандартна скала, известна като „Преработена функционална скала за оценка на АЛС“ (ALSFRS-R). Фирмата също така предостави резултати за продължителността на общата преживяемост.

Какви са основните причини за отказа за издаване на разрешение за употреба?

Към момента на изготвяне на първоначалното становище през юни 2023 г. Агенцията имаше опасения, че основното проучване не показва убедително, че Albrioza е ефективен за забавяне на влошаването на заболяването. Данните за преживяемостта също не са надеждни предвид начина, по който са събрани и анализирани данните. Поради това становището на Агенцията е, че не може да се установи положителен баланс между ползите и рисковете, свързани с Albrioza. Поради това Агенцията препоръчва отказ на разрешението за употреба. При изготвянето на тази препоръка Агенцията взе предвид и съветите на експертни групи, включително представители на пациентите и експерти в областта на неврологията.

По време на преразглеждането Агенцията оцени отговорите на фирмата по отношение на нейните опасения и се консултира с група експерти в областта на неврологията. След преразглеждането причините за опасенията на Агенцията не са отстранени и поради това първоначалният отказ е потвърден.

Агенцията също така взе предвид няколко интервенции на трети страни от сдружения на пациенти с АЛС, застъпници на АЛС и национална асоциация по неврология.

Какви са последствията от отказа за пациентите, участващи в клинични изпитвания?

Фирмата е информирала Агенцията, че няма последствия за пациентите, които понастоящем са включени в клинични изпитвания с Albrioza. Ако участвате в клинично изпитване и се нуждаете от повече информация за вашето лечение, говорете с вашия лекар, провеждащ клиничното изпитване.