



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25. dubna 2025
EMA/128274/2025
EMA/H/C/006068

Stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Dazluma (troriluzol-hydrochlorid monohydrát)

Společnost Biohaven Bioscience Ireland Limited stáhla svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Dazluma určeného k léčbě spinocerebelární ataxie genotypu 3, což je dědičné onemocnění mozku, které ovlivňuje koordinaci a rovnováhu.

Společnost svou žádost stáhla dne 24. března 2025.

Co je přípravek Dazluma a k čemu měl být používán?

Přípravek Dazluma je vyvíjen jako léčivý přípravek k použití u dospělých k léčbě spinocerebelární ataxie genotypu 3. Během hodnocení společnost požádala o rozšíření indikace o všechny formy spinocerebelární ataxie. V případě spinocerebelární ataxie dochází k poškození a odumírání nervových buněk v mozečku (části mozku, která řídí pohyb a rovnováhu). To vede ke stupňujícím se problémům s koordinací, mluvením, chůzí a rovnováhou.

Přípravek Dazluma obsahuje léčivou látku troriluzol-hydrochlorid monohydrát a měl být dostupný ve formě tobolek k užití ústy.

Přípravek Dazluma byl označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“ dne 10. prosince 2021. Přípravek měl být určen k léčbě spinocerebelární ataxie. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na [internetových stránkách agentury](#).

Jak přípravek Dazluma působí?

Léčivá látka v přípravku Dazluma, troriluzol-hydrochlorid monohydrát, je proléčivo riluzolu. To znamená, že se v těle přeměňuje na svou aktivní formu, riluzol.

V důsledku vysoké hladiny glutamátu (chemické látky, která umožňuje nervovým buňkám komunikovat s jinými buňkami) se zvyšuje stimulace receptorů (bílkovin) v mozečku. Může tak dojít ke zvýšení vápníku v nervových buňkách, což může způsobit jejich odumírání. Předpokládá se, že mechanismus účinku troriluzolu u spinocerebelární ataxie spočívá ve snižování hladiny glutamátu ve spojích mezi nervovými buňkami. To může mít vliv na hyperexcitabilitu nervových buněk (stav, kdy se nervové buňky stávají příliš citlivými) v mozečku, což pomáhá kontrolovat rovnováhu a koordinaci.

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



Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Společnost předložila údaje z hlavní studie, do které bylo zařazeno 218 dospělých s různými formami spinocerebelární ataxie, včetně spinocerebelární ataxie genotypu 3, a která porovnávala přípravek Dazluma s placebem (neúčinným přípravkem). Hlavním měřítkem účinnosti byla změna závažnosti příznaků po 48 týdnech léčby hodnocená pomocí funkční škály pro posouzení a hodnocení ataxie (f-SARA). Pomocí této škály se hodnotí schopnost osoby vykonávat úkoly, které ukazují, jak dokáže kontrolovat své pohyby a udržet rovnováhu. Hodnocení se pohybuje od 0 do 16 bodů, přičemž vyšší počet bodů znamená závažnější formu ataxie. Během hodnocení společnost předložila také údaje z praxe od pacientů se spinocerebelární ataxií, na základě kterých porovnávala, jak se onemocnění zhoršilo u pacientů léčených přípravkem Dazluma oproti pacientům, kteří nebyli nijak léčeni.

V jaké fázi bylo posuzování žádosti v době, kdy byla stažena?

Společnost svou žádost stáhla poté, co Evropská agentura pro léčivé přípravky posoudila informace předložené společností a vypracovala otázky pro společnost. Agentura vyhodnotila odpovědi společnosti na poslední sadu otázek, některé body však zůstaly nedořešené.

Jaké bylo doporučení agentury v dané době?

Na základě vyhodnocení dostupných údajů a odpovědí společnosti na otázky agentury měla agentura v době stažení žádosti určité pochybnosti a její prozatímní stanovisko bylo, že přípravek Dazluma nemůže být schválen k léčbě spinocerebelární ataxie.

Vzhledem k tomu, že zjištění hlavní studie neprokázala, že je přípravek Dazluma při léčbě spinocerebelární ataxie účinnější než placebo, agentura usoudila, že z této studie nelze vyvodit žádné závěry. Společnost také porovnávala účinnost přípravku Dazluma s údaji z praxe u neléčených pacientů. Agentura však byla toho názoru, že výsledky tohoto porovnání nejsou platné, neboť na rozdíl ve zhoršování onemocnění mezi pacienty léčenými přípravkem Dazluma a neléčenými pacienty mohly mít kromě faktorů, které společnost ve své analýze zvažovala, vliv i další faktory. Agentura proto v době stažení žádosti zastávala názor, že účinnost přípravku Dazluma při léčbě spinocerebelární ataxie nebyla prokázána.

Společnost požádala, aby přípravek Dazluma byl označen jako přípravek s novou léčivou látkou, jelikož účinnost a bezpečnost jeho léčivé látky se výrazně liší od účinnosti a bezpečnosti léčivého přípravku, který je již v Evropské unii (EU) registrován. Agentura se domnívala, že společnost neprokázala, že účinnost či bezpečnost troriluzol-hydrochlorid monohydrátu se výrazně liší od jeho aktivní formy, riluzolu, který je již v EU registrován jako léčivý přípravek. Agentura proto na základě informací předložených v dané době nemohla dospět k závěru, že troriluzol-hydrochlorid monohydrát je novou léčivou látkou.

Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?

Společnost ve svém [dopise](#), v němž uvědomuje agenturu o stažení žádosti, uvedla, že má v úmyslu získat další údaje na podporu označení troriluzol-hydrochlorid monohydrátu jako nové léčivé látky a předložit novou žádost, jakmile tyto údaje získá.

Jaké jsou důsledky stažení žádosti pro pacienty zařazené do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Dazluma podáván v rámci léčby z humanitních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use)?

Společnost informovala agenturu, že stažení žádosti nemá žádné důsledky pro pacienty, kteří jsou v současné době zařazení do klinických studií s přípravkem Dazluma. Společnost zahajuje programy, v nichž je přípravek Dazluma podáván v rámci léčby z humanitních důvodů.

Pokud jste zařazení do klinické studie a potřebujete získat více informací o své léčbě, obraťte se na svého lékaře v rámci klinické studie.