



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13. října 2023
EMA/500738/2023
EMA/H/C/005901

Zamítnutí registrace přípravku Albrioza (*natrium-fenylbutyrát/ursodoxikolaurin*)

Přezkoumání potvrdilo zamítnutí registrace.

Po přezkoumání svého původního stanoviska potvrdila Evropská agentura pro léčivé přípravky své doporučení zamítnout registraci přípravku Albrioza. Tento léčivý přípravek byl určen k léčbě amyotrofické laterální sklerózy.

Po přezkoumání vydala agentura dne 12. října 2023 své stanovisko. Své původní stanovisko vydala dne 22. června 2023. Žádost o registraci přípravku Albrioza podala společnost Amylyx Pharmaceuticals EMEA B.V.

Co je přípravek Albrioza a k čemu měl být používán?

Přípravek Albrioza byl vyvinut jako léčivý přípravek pro dospělé s amyotrofickou laterální sklerózou. Amyotrofická laterální skleróza je progresivní onemocnění nervového systému, kdy se funkce nervových buněk v mozku a míše, které ovládají volní pohyby, postupně zhoršuje, což způsobuje ztrátu funkce svalů a paralýzu (ochrnutí). Přípravek obsahuje dvě léčivé látky, natrium-fenylbutyrát a ursodoxikolaurin, a měl být k dispozici ve formě prášku k rozpuštění ve vodě a k užití ústy.

Přípravek Albrioza byl dne 4. června 2020 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Měl být určen k léčbě amyotrofické laterální sklerózy. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2284.

Jak přípravek Albrioza působí?

Není zcela zřejmé, jak přípravek Albrioza působí. Předpokládalo se však, že obě léčivé látky, natrium-fenylbutyrát a ursodoxikolaurin, zmírňují poškození nervových buněk a zabraňují jejich odumírání. Očekávalo se, že to pomůže zachovat normální funkci svalů a zpomalit zhoršování onemocnění.

Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Společnost předložila výsledky jedné hlavní studie, do které bylo zařazeno 137 pacientů s amyotrofickou laterální sklerózou, kterým byl kromě jejich standardní léčby podáván po dobu 24 týdnů buď přípravek Albrioza, nebo placebo (neúčinný přípravek). Hlavním měřítkem účinnosti byla



rychlost zhoršování příznaků pacientů, jako jsou obtíže při mluvení, dýchání, jídle a provádění jiných běžných každodenních činností, během studie, což bylo hodnoceno pomocí standardní hodnotící škály známé jako „revidovaná škála funkčního hodnocení amyotrofické laterální sklerózy“ (ALSFRS-R). Společnost předložila také výsledky týkající se celkové doby přežití.

Jaké byly hlavní důvody zamítnutí registrace?

Agentura měla v době vydání původního stanoviska v červnu 2023 určité pochybnosti. Domnívala se, že hlavní studie přesvědčivě neprokázala účinnost přípravku Albrioza při zpomalování zhoršování onemocnění. Rovněž údaje o přežití nebyly spolehlivé vzhledem k tomu, jak byly shromážděny a analyzovány. Agentura proto zastávala názor, že nelze dospět k závěru, že poměr přínosů a rizik přípravku Albrioza je příznivý. Doporučila proto registraci zamítnout. V rámci svého doporučení agentura zohlednila také doporučení odborných skupin, včetně zástupců pacientů a odborníků na neurologii.

Během přezkoumání agentura vyhodnotila odpovědi společnosti na její pochybnosti a konzultovala skupinu odborníků na neurologii. Pochybnosti agentury nebyly po přezkoumání vyřešeny, a původní zamítnutí bylo proto potvrzeno.

Agentura zohlednila rovněž několik intervencí třetích stran, konkrétně sdružení pacientů s amyotrofickou laterální sklerózou, subjektů zvyšujících povědomí o amyotrofické laterální skleróze a jedné vnitrostátní neurologické asociace.

Jaké jsou důsledky zamítnutí registrace pro pacienty zařazené do klinických studií?

Společnost informovala agenturu, že stažení žádosti nemá žádné důsledky pro pacienty, kteří jsou v současné době zařazení do klinických studií s přípravkem Albrioza. Pokud jste zařazení do klinické studie a potřebujete získat více informací o své léčbě, obraťte se na svého lékaře v rámci klinické studie.