



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Tilbagetrækning af ansøgningen om markedsføringstilladelse for Dazluma (troriluzolhydrochloridmonohydrat)

Biohaven Bioscience Ireland Limited har tilbagetrukket sin ansøgning om markedsføringstilladelse for Dazluma til behandling af spinocerebellar ataksi, genotype 3, (SCA3), en nedarvet hjernesygdom, der påvirker koordination og balance.

Virksomheden trak ansøgningen tilbage den 24. marts 2025.

### Hvad er Dazluma , og hvad forventedes det anvendt til?

Dazluma er ved at blive udviklet som et lægemiddel til behandling af SCA3 hos voksne. I løbet af vurderingen ansøgte virksomheden om at udvide indikationen til at omfatte alle former for spinocerebellar ataksi. Ved spinocerebellær ataksi bliver nervecellerne i cerebellum (den del af hjernen, som styrer bevægelse og balance) beskadiget og dør. Dette medfører tiltagende problemer med koordination, tale, gang og balance.

Dazluma indeholder det aktive stof troriluzolhydrochloridmonohydrat og skulle have været markedsført som kapsler til indtagelse gennem munden.

Dazluma blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 10. december 2021 til behandling af spinocerebellar ataxi. Der findes mere information om udpegelsen til lægemiddel til sjældne sygdomme på [agenturets websted](#).

### Hvordan virker Dazluma?

Det aktive stof i Dazluma, troriluzolhydrochloridmonohydrat, er et prodrug til riluzol. Det betyder, at det omdannes i kroppen til den aktive form, riluzol.

Høje niveauer af glutamat, et kemikalie, der gør det muligt for nervecellerne at kommunikere med andre celler, øger stimuleringen af receptorer (proteiner) i cerebellum. Dette kan øge kalciumniveauet i nervecellerne, hvilket kan medføre, at de dør. Troriluzols virkningsmekanisme ved spinocerebellar ataxi menes at reducere glutamatniveauet ved forbindelserne mellem nervecellerne. Dette kan ændre

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



hyperexcitabiliteten i nervecellerne (når nervecellerne bliver alt for følsomme) i cerebellen, som bidrager til at kontrollere balance og koordination.

## **Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen?**

Virksomheden fremlagde data fra et hovedstudie med 218 voksne med forskellige former for spinocerebellar ataksi, herunder SCA3, hvori Dazluma blev sammenlignet med placebo (en uvirksom behandling). Virkningen blev hovedsageligt bedømt på ændringen i symptomernes sværhedsgrad, målt ved hjælp af den funktionelle skala for vurdering og bedømmelse af ataksi (f-SARA) efter 48 ugers behandling. f-SARA måler en persons evne til at udføre opgaver, der viser, hvor godt vedkommende kan kontrollere sine bevægelser og holde balancen. Skalaen går fra 0 til 16, hvor højere scorerer indikerer sværere ataxi. I løbet af vurderingen fremlagde virksomheden desuden real world-data fra patienter med spinocerebellar ataksi, hvor man sammenlignede, hvordan sygdommen skred frem hos patienter, der blev behandlet med Dazluma, og hos patienter, som ikke fik nogen behandling.

## **Hvor langt var vurderingen af ansøgningen nået, da den blev trukket tilbage?**

Ansøgningen blev trukket tilbage af virksomheden, efter at Det Europæiske Lægemiddelagentur havde vurderet den dokumentation, som virksomheden havde fremlagt, og udarbejdet spørgsmål til virksomheden. Efter agenturet havde vurderet virksomhedens svar på den sidste spørgsmålsrunde, var der fortsat visse uafklarede punkter.

## **Hvad anbefalede agenturet på daværende tidspunkt?**

På baggrund af gennemgangen af dataene og virksomhedens svar på agenturets spørgsmål på tidspunktet for tilbagetrækningen af ansøgningen havde agenturet visse betænkeligheder og var af den foreløbige opfattelse, at Dazluma ikke kunne være blevet godkendt til behandling af spinocerebellar ataxi.

Da resultaterne af hovedstudiet ikke viste, at Dazluma var mere effektivt end placebo til behandling af spinocerebellar ataxi, fandt agenturet, at der ikke kunne drages nogen konklusion af dette studie. Virksomheden sammenlignede også virkningen af Dazluma med real world-data for ubehandlede patienter. Agenturet fandt imidlertid, at resultaterne af denne sammenligning ikke var gyldige, da yderligere faktorer end de faktorer, som virksomheden tog i betragtning til analysen, kunne have påvirket forskellen i sygdomsprogression mellem de patienter, der blev behandlet med Dazluma, og ubehandlede patienter. Derfor var agenturet på tidspunktet for tilbagetrækningen af den opfattelse, at virkningen af Dazluma til behandling af spinocerebellar ataxi ikke var dokumenteret.

Virksomheden havde ansøgt om at få Dazluma godkendt som et nyt aktivt stof, fordi virkningen af og sikkerheden ved dets aktive stof afviger væsentligt fra virkningen af og sikkerheden ved et lægemiddel, der allerede er godkendt i Den Europæiske Union (EU). Agenturet var af den opfattelse, at virksomheden ikke havde påvist, at virkningen af eller sikkerheden ved troriluzolhydrochloridmonohydrat adskiller sig væsentligt fra den aktive form, riluzol, der allerede er godkendt til anvendelse som lægemiddel i EU. Agenturet kunne derfor ikke konkludere, at troriluzolhydrochloridmonohydrat er et nyt aktivt stof på grundlag af de oplysninger, der er forelagt på nuværende tidspunkt.

## **Hvilke begrundelser gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?**

I sit [brev](#) til agenturet om tilbagetrækningen af ansøgningen anførte virksomheden, at den planlægger at fremskaffe yderligere data til støtte for troriluzolhydrochloridmonohydrats status som nyt aktivt stof og planlægger at indgive en ny ansøgning, når disse data er genereret.

## **Hvilke konsekvenser har tilbagetrækningen for patienter, der deltager i kliniske forsøg eller i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse?**

Virksomheden har til agenturet oplyst, at der ingen konsekvenser er for patienter, der deltager i kliniske forsøg med Dazluma. Virksomheden er i færd med at iværksætte programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse.

Hvis du deltager i et klinisk forsøg og har behov for yderligere oplysninger om din behandling, kan du kontakte den læge, der behandler dig.