



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13. oktober 2023  
EMA/500739/2023  
EMA/H/C/005901

## Afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse for Albriozia (*natriumphenylbutyrat/ursodoxicoltaurin*)

### Revurdering bekræfter afslag

Efter revurdering af sin oprindelige udtalelse har Det Europæiske Lægemiddelagentur bekræftet sin anbefaling om at give afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse for lægemidlet Albriozia. Lægemidlet var beregnet til behandling af amyotrofisk lateralsklerose.

Agenturet afgav sin udtalelse den 12. oktober 2023 efter at have foretaget en revurdering. Agenturet afgav sin første udtalelse den 22. juni 2023. Virksomheden, der ansøgte om markedsføringstilladelse for Albriozia, er Amylyx Pharmaceuticals EMEA B.V.

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

Albriozia blev udviklet som et lægemiddel til voksne med amyotrofisk lateralsklerose (ALS). ALS er en fremadskridende sygdom i nervesystemet, hvor nerveceller i hjernen og rygmarven, der kontrollerer frivillige bevægelser, gradvist forringes. Det medfører tab af muskelfunktion, og lammelse. Lægemidlet indeholder to aktive stoffer, natriumphenylbutyrat og ursodoxicoltaurin, og skulle markedsføres som et pulver, der opløses i vand og indtages gennem munden.

Albriozia blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 4. juni 2020 mod ALS. Yderligere oplysninger om udpegelsen til lægemiddel til sjældne sygdomme findes på agenturets websted: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2284](https://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2284).

### Hvordan virker Albriozia?

Det er ikke helt klart, hvordan Albriozia virker, men de to aktive stoffer, natriumphenylbutyrat og ursodoxicoltaurin, forventedes at reducere skader på nerveceller og at forhindre disse celler i at dø. Dette forventedes at bidrage til at opretholde en normal muskelfunktion og forsinke sygdommens fremadskriden.

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

Virksomheden fremlagde resultater fra et hovedstudie blandt 137 patienter med ALS, som fik enten Albriozia eller placebo (en uvirksom behandling) i tillæg til deres standardbehandling over en periode

---

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

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

An agency of the European Union



på 24 uger. Virkningen blev hovedsagelig målt på hastigheden, hvormed patienternes symptomer, såsom vanskeligheder med at tale, trække vejret, spise og udføre andre normale daglige aktiviteter, forværredes i løbet af studiet. Dette blev vurderet ved hjælp af en standardskala kendt som "ALS functional rating scale revised" (ALSF<sub>RS</sub>-R). Virksomheden fremlagde også resultater vedrørende den samlede overlevelsestid.

## **Hvad var hovedårsagerne for afslaget på ansøgningen om markedsføringstilladelse?**

På tidspunktet for den oprindelige udtalelse i juni 2023 havde agenturet betænkeligheder ved, at hovedstudiet ikke på overbevisende måde påviste, at Albriozza var egnet til at bremse sygdommens fremadskriden. På grund af den måde, de blev indsamlet og analyseret på, var dataene om overlevelse heller ikke pålidelige. Agenturet var derfor af den opfattelse, at benefit/risk-forholdet for Albriozza ikke kunne fastslås. Agenturet anbefalede derfor afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse. I forbindelse med denne anbefaling tog agenturet også hensyn til rådgivning fra ekspertgrupper, herunder patientrepræsentanter og eksperter inden for neurologi.

I forbindelse med revurderingen evaluerede agenturet virksomhedens besvarelser i forbindelse med de betænkeligheder, det havde givet udtryk for, og konsulterede en gruppe af eksperter inden for neurologi. Efter revurderingen fandt agenturet ikke, at dets betænkeligheder var blevet imødegået, og det oprindelige afslag blev derfor bekræftet.

Agenturet tog også hensyn til en række tredjepartsindlæg fra ALS-patientforeninger, ALS-advokater og en national neurologisammenslutning.

## **Har dette afslag betydning for patienter, der deltager i kliniske forsøg?**

Virksomheden meddelte agenturet, at beslutningen ikke vil få konsekvenser for patienter, der på nuværende tidspunkt deltager i kliniske forsøg med Albriozza. Hvis du deltager i et klinisk forsøg og har behov for yderligere oplysninger om din behandling, kan du kontakte den læge, der behandler dig.