



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13. Oktober 2023  
EMA/500740/2023  
EMA/H/C/005901

## Versagung der Genehmigung für das Inverkehrbringen von Albrioza (*Natriumphenylbutyrat/Ursodoxicoltaurin*) Überprüfung bestätigt Versagung

Nach der Überprüfung ihres ursprünglichen Gutachtens hat die Europäische Arzneimittel-Agentur ihre Empfehlung zur Versagung der Genehmigung für das Inverkehrbringen des Arzneimittels Albrioza bestätigt. Das Arzneimittel war für die Behandlung der amyotrophen Lateralsklerose bestimmt.

Die Agentur legte ihr Gutachten nach der Überprüfung am 12. Oktober 2023 vor. Ihr ursprüngliches Gutachten hatte die Agentur am 22. Juni 2023 vorgelegt. Das Unternehmen, das die Zulassung von Albrioza beantragt hat, ist Amylyx Pharmaceuticals EMEA B.V.

### Was ist Albrioza und wofür sollte es angewendet werden?

Albrioza wurde als Arzneimittel für Erwachsene mit amyotropher Lateralsklerose (ALS) entwickelt. ALS ist eine fortschreitende Erkrankung des Nervensystems, bei der eine allmähliche Degeneration der Nervenzellen im Gehirn und im Rückenmark, welche die bewussten Bewegungen steuern, stattfindet, was zum Verlust der Muskelfunktion und zu Lähmungen führt. Das Arzneimittel enthält zwei Wirkstoffe, Natriumphenylbutyrat und Ursodoxicoltaurin, und sollte als Pulver erhältlich sein, das in Wasser aufgelöst und eingenommen wird.

Albrioza wurde am 4. Juni 2020 als „Orphan-Arzneimittel“ (Arzneimittel für seltene Leiden) zur Behandlung von ALS ausgewiesen. Weitere Informationen zu der Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie hier: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2284](https://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2284).

### Wie wirkt Albrioza?

Es ist nicht vollständig geklärt, wie Albrioza wirkt, aber es wurde davon ausgegangen, dass die beiden Wirkstoffe, Natriumphenylbutyrat und Ursodoxicoltaurin, die Schädigung der Nervenzellen verringern und ihr Absterben verhindern würden. Dies sollte dazu beitragen, die normale Muskelfunktion aufrechtzuerhalten und die Verschlimmerung der Erkrankung zu verlangsamen.

---

**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



## **Welche Unterlagen hat das Unternehmen zur Stützung seines Antrags vorgelegt?**

Das Unternehmen legte Ergebnisse aus einer Hauptstudie vor, an der 137 Patienten mit ALS teilnahmen, die über einen Zeitraum von 24 Wochen entweder Albriozä oder Placebo (eine Scheinbehandlung) zusätzlich zu ihrer Standardbehandlung erhielten. Hauptindikator für die Wirksamkeit war die Häufigkeit, mit der sich die Symptome der Patienten, wie z. B. Schwierigkeiten beim Sprechen, Atmen, Essen, und die Ausübung anderer normaler Alltagsaktivitäten, während der Studie verschlechterten. Dies wurde anhand einer Standard-Bewertungsskala beurteilt, die als „ALS Functional Rating Scale Revised“ (ALSFRS-R) bezeichnet wird. Das Unternehmen legte außerdem Ergebnisse zur Gesamtüberlebensdauer vor.

## **Was waren die Hauptgründe für die Versagung der Genehmigung für das Inverkehrbringen?**

Zum Zeitpunkt des ursprünglichen Gutachtens im Juni 2023 hatte die Agentur Bedenken, dass die Hauptstudie nicht überzeugend zeigte, dass Albriozä das Fortschreiten der Erkrankung wirksam verlangsamte. Außerdem waren die Daten zum Überleben angesichts der Art und Weise, wie die Daten erhoben und analysiert wurden, nach Ansicht der Agentur nicht zuverlässig. Daher war die Agentur der Auffassung, dass kein positives Nutzen-Risiko-Verhältnis von Albriozä festgestellt werden kann. Deshalb empfahl die Agentur die Versagung der Genehmigung für das Inverkehrbringen. Bei der Abgabe dieser Empfehlung berücksichtigte die Agentur auch die Empfehlungen von Expertengruppen, einschließlich Patientenvertretern und Experten für Neurologie.

Im Zuge der Überprüfung bewertete die Agentur die Antworten des Unternehmens auf ihre Bedenken und konsultierte eine Gruppe von Experten für Neurologie. Nach der Überprüfung konnten die Bedenken der Agentur nicht ausgeräumt werden, so dass die ursprüngliche Versagung bestätigt wurde.

Die Agentur berücksichtigte auch mehrere Interventionen von ALS-Patientenverbänden, ALS-Anwälten und einem nationalen Neurologieverband.

## **Hat die Versagung Konsequenzen für Patienten, die derzeit an klinischen Studien teilnehmen?**

Das Unternehmen teilte der Agentur mit, dass sich keine Konsequenzen für Patienten ergeben, die derzeit an klinischen Studien mit Albriozä teilnehmen. Sollten Sie an einer klinischen Studie teilnehmen und weitere Informationen zu Ihrer Behandlung benötigen, wenden Sie sich bitte an Ihren Studienarzt.