



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13 Οκτωβρίου 2023
EMA/500741/2023
EMA/H/C/005901

Απόρριψη της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το Albrioza (φαινυλοβουτυρικό νάτριο / ουρσοδοξικολταυρίνη)

Επιβεβαίωση της απόρριψης μετά από επανεξέταση

Μετά από επανεξέταση της αρχικής του γνώμης, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων επιβεβαίωσε την εισήγησή του για απόρριψη της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο φάρμακο Albrioza. Το φάρμακο προοριζόταν για τη θεραπεία της πλάγιας μυατροφικής σκλήρυνσης.

Ο Οργανισμός εξέδωσε γνωμοδότηση κατόπιν επανεξέτασης στις 12 Οκτωβρίου 2023. Η αρχική γνωμοδότηση του Οργανισμού είχε εκδοθεί στις 22 Ιουνίου 2023. Η εταιρεία που υπέβαλε αίτηση για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το Albrioza είναι η Amylyx Pharmaceuticals EMEA B.V.

Τι είναι το Albrioza και σε ποιες περιπτώσεις επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί;

Το Albrioza αναπτύχθηκε ως φάρμακο για ενήλικες με πλάγια μυατροφική σκλήρυνση (ALS). Η πλάγια μυατροφική σκλήρυνση είναι μια προοδευτική νόσος του νευρικού συστήματος κατά την οποία τα νευρικά κύτταρα του εγκεφάλου και της σπονδυλικής στήλης που ελέγχουν την εκούσια κίνηση σταδιακά επιδεινώνονται, προκαλώντας απώλεια της μυϊκής λειτουργίας και παράλυση. Το φάρμακο περιέχει δύο δραστικές ουσίες, το φαινυλοβουτυρικό νάτριο και την ουρσοδοξικολταυρίνη και επρόκειτο να διατεθεί υπό μορφή σκόνης για διάλυση σε νερό και χορήγηση από το στόμα.

Το Albrioza χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 4 Ιουνίου 2020 για τη θεραπεία της πλάγιας μυατροφικής σκλήρυνσης. Περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2284.

Πώς δρα το Albrioza;

Δεν είναι απολύτως σαφής ο τρόπος δράσης του Albrioza. Ωστόσο, οι δύο δραστικές ουσίες, το φαινυλοβουτυρικό νάτριο και η ουρσοδοξικολταυρίνη, αναμενόταν να μειώσουν τη βλάβη στα νευρικά κύτταρα και να αποτρέψουν τον θάνατό τους. Αυτό αναμενόταν να συμβάλει στη διατήρηση της φυσιολογικής μυϊκής λειτουργίας και στην επιβράδυνση της επιδείνωσης της νόσου.

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



Τι είδους τεκμηρίωση υπέβαλε η παρασκευάστρια εταιρεία προς στήριξη της αίτησής της;

Η εταιρεία υπέβαλε αποτελέσματα από μία κύρια μελέτη στην οποία μετείχαν 137 ασθενείς με πλάγια μυατροφική σκλήρυνση, οι οποίοι έλαβαν είτε Albrioza είτε εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία) επιπλέον της συνήθους θεραπείας τους για 24 εβδομάδες. Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν ο ρυθμός με τον οποίο τα συμπτώματα των ασθενών, όπως η δυσκολία στην ομιλία, την αναπνοή, τη σίτιση και την εκτέλεση άλλων καθημερινών δραστηριοτήτων, επιδεινώθηκαν κατά τη διάρκεια της μελέτης. Η αξιολόγηση αυτή πραγματοποιήθηκε με τη χρήση τυποποιημένης κλίμακας αξιολόγησης, γνωστής ως «αναθεωρημένη κλίμακα λειτουργικής αξιολόγησης ALS» (ALSFRS-R). Η εταιρεία υπέβαλε επίσης αποτελέσματα σχετικά με τον συνολικό χρόνο επιβίωσης.

Ποιοι ήταν οι βασικοί λόγοι απόρριψης της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας;

Κατά την έκδοση της αρχικής γνώμης τον Ιούνιο του 2023, ο Οργανισμός εξέφρασε ανησυχίες σχετικά με το γεγονός ότι η κύρια μελέτη δεν κατέδειξε με πειστικό τρόπο ότι το Albrioza ήταν αποτελεσματικό στην επιβράδυνση της επιδείνωσης της νόσου. Επίσης, τα στοιχεία σχετικά με την επιβίωση δεν ήταν αξιόπιστα, δεδομένου του τρόπου με τον οποίο συλλέχθηκαν και αναλύθηκαν τα δεδομένα. Ως εκ τούτου, ο Οργανισμός διατύπωσε τη γνώμη ότι δεν μπορεί να τεκμηριωθεί η θετική σχέση οφέλους-κινδύνου του Albrioza. Συνεπώς, ο Οργανισμός εισηγήθηκε την απόρριψη της χορήγησης άδειας κυκλοφορίας. Κατά τη διατύπωση της σύστασης αυτής, ο Οργανισμός έλαβε επίσης υπόψη τις συμβουλές ομάδων εμπειρογνομόνων, συμπεριλαμβανομένων εκπροσώπων ασθενών και εμπειρογνομόνων στον τομέα της νευρολογίας.

Κατά τη διάρκεια της επανεξέτασης, ο Οργανισμός αξιολόγησε τις απαντήσεις της εταιρείας στις ανησυχίες της και ζήτησε τη γνώμη ομάδας εμπειρογνομόνων στον τομέα της νευρολογίας. Μετά την επανεξέταση, οι ανησυχίες του Οργανισμού δεν διευθετήθηκαν και, ως εκ τούτου, η αρχική απόρριψη επιβεβαιώθηκε.

Ο Οργανισμός έλαβε επίσης υπόψη διάφορες παρεμβάσεις τρίτων μερών από ενώσεις ασθενών πλάγιας μυατροφικής σκλήρυνσης, δικηγόρους πλάγιας μυατροφικής σκλήρυνσης και μια εθνική ένωση νευρολογίας.

Επηρεάζει η απόρριψη της αίτησης τους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές;

Η εταιρεία ενημέρωσε τον Οργανισμό ότι δεν υπάρχουν συνέπειες για τους ασθενείς που συμμετέχουν επί του παρόντος σε κλινικές δοκιμές με το Albrioza. Εάν συμμετέχετε σε κλινική δοκιμή και χρειάζεστε περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία σας, συμβουλευθείτε τον γιατρό που σας παρακολουθεί στο πλαίσιο της δοκιμής.