



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25 de abril de 2025
EMA/128274/2025
EMA/H/C/006068

Retirada de la solicitud de autorización de comercialización de Dazluma (hidrocloruro de troriluzol monohidrato)

Biohaven Bioscience Ireland Limited retiró su solicitud de autorización de comercialización de Dazluma para el tratamiento del genotipo 3 de la ataxia espinocerebelosa (SCA3), un trastorno cerebral hereditario que afecta a la coordinación y al equilibrio.

La empresa retiró la solicitud el 24 de marzo de 2025.

¿Qué es Dazluma y a qué uso estaba destinado?

Dazluma se está desarrollando como medicamento para su uso en adultos para el tratamiento de la SCA3. Durante la evaluación, la empresa solicitó ampliar la indicación para incluir todas las formas de ataxia espinocerebelosa. En la ataxia espinocerebelosa, las células nerviosas del cerebelo (la parte del cerebro que gestiona el movimiento y el equilibrio) sufren daños y mueren. Esto da lugar a problemas progresivos de coordinación, habla, movimiento y equilibrio.

Dazluma contiene el principio activo hidrocloruro de troriluzol monohidrato e iba a presentarse en cápsulas para tomar por vía oral.

Dazluma fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 10 de diciembre de 2021 para el tratamiento de la ataxia espinocerebelosa. Puede encontrarse más información sobre la designación de medicamento huérfano en la [página web de la Agencia](#).

¿Cómo actúa Dazluma?

El principio activo de Dazluma, el hidrocloruro de troriluzol monohidrato, es un profármaco del riluzol. Esto significa que se convierte en el organismo en su forma activa riluzol.

Los altos niveles de glutamato, una sustancia química que permite a las células nerviosas comunicarse con otras células, aumentan la estimulación de los receptores (proteínas) en el cerebelo. Esto puede aumentar los niveles de calcio en las células nerviosas, lo que puede provocar su muerte. Se cree que el mecanismo de acción de troriluzol en la ataxia espinocerebelosa reduce los niveles de glutamato en

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



las conexiones entre las células nerviosas. Esto puede alterar la hiperexcitabilidad de las células nerviosas (cuando las células nerviosas se vuelven demasiado sensibles) del cerebelo que ayudan a controlar el equilibrio y la coordinación.

¿Qué documentación presentó la empresa en apoyo de su solicitud?

La empresa presentó datos de un estudio principal en el que participaron 218 adultos con diferentes formas de ataxia espinocerebelosa, incluida la SCA3, en el que se comparó Dazluma con un placebo (un tratamiento ficticio). El criterio principal de valoración de la eficacia fue el cambio en la gravedad de los síntomas, para cuya medida se utilizó la escala funcional para la evaluación y valoración de la ataxia (f-SARA) al cabo de 48 semanas de tratamiento. El f-SARA mide la capacidad de una persona para realizar tareas que muestran hasta qué punto es capaz de controlar adecuadamente sus movimientos y mantener su equilibrio. Las puntuaciones oscilan entre 0 y 16 y las más altas indican una ataxia más grave. Durante la evaluación, la empresa también presentó datos reales de pacientes con ataxia espinocerebelosa, en los que se comparó la progresión de la enfermedad en los pacientes tratados con Dazluma con los pacientes que no recibieron ningún tratamiento.

¿En qué fase se encontraba la evaluación de la solicitud cuando fue retirada?

La solicitud fue retirada por la empresa después de que la Agencia Europea de Medicamentos hubiera evaluado la información facilitada por la empresa y formulado una serie de preguntas. Después de que la Agencia hubo evaluado las respuestas de la empresa a la última serie de preguntas, aún quedaban algunas cuestiones sin resolver.

¿Qué recomendaba la Agencia en ese momento?

Estudiada la documentación y las respuestas de la empresa a la lista de preguntas de la Agencia, en el momento de la retirada la Agencia tenía reservas y, provisionalmente, consideraba que Dazluma no hubiera podido aprobarse para el tratamiento de la ataxia espinocerebelosa.

Dado que los resultados del estudio principal no demostraron que Dazluma fuera más eficaz que el placebo para el tratamiento de la ataxia espinocerebelosa, la Agencia consideró que no se podían extraer conclusiones al respecto. La empresa también comparó la eficacia de Dazluma con los datos obtenidos en condiciones reales de pacientes no tratados. Sin embargo, la Agencia consideró que los resultados de esta comparación no eran válidos, ya que otros factores adicionales a los considerados por la empresa para su análisis podrían haber influido en la diferencia en la progresión de la enfermedad entre los pacientes tratados con Dazluma y los pacientes no tratados. Por consiguiente, en el momento de la retirada, la Agencia estimaba que no estaba demostrada la eficacia de Dazluma para el tratamiento de la ataxia espinocerebelosa.

La empresa había solicitado la designación de Dazluma como nuevo principio activo, sobre la base de que la eficacia y la seguridad de su principio activo difieren significativamente de las de un medicamento ya autorizado en la Unión Europea (UE). La Agencia consideró que la empresa no había demostrado que la eficacia o la seguridad del clorhidrato de troriluzol monohidrato fuera significativamente diferente de su forma activa, el riluzol, que ya está autorizado para su uso como medicamento en la UE. Por lo tanto, la Agencia no pudo concluir que el clorhidrato de troriluzol monohidrato sea un nuevo principio activo sobre la base de la información presentada en este momento.

¿Cuáles fueron las razones aducidas por la empresa para retirar su solicitud?

En el [escrito](#) en el que notificaba a la Agencia la retirada de su solicitud, la empresa declaró que tenía previsto generar datos adicionales que respaldasen la condición de un nuevo principio activo para el clorhidrato de troriluzol monohidrato y que tenía previsto presentar una nueva solicitud una vez que se generasen estos datos.

¿Qué consecuencias tiene esta retirada para los pacientes que participan en los ensayos clínicos o programas de uso compasivo?

La empresa informó a la Agencia de que no hay consecuencias para los pacientes que participan en ensayos clínicos con Dazluma. La empresa está poniendo en marcha programas de uso compasivo.

Si participa usted en un ensayo clínico y precisa información adicional acerca de su tratamiento, póngase en contacto con el médico que le administra el medicamento.