



13 de octubre de 2023  
EMA/500742/2023  
EMEA/H/C/005901

## Denegación de la autorización de comercialización de Albrioza (*fenilbutirato de sodio/ursodoxicoltaurina*)

La denegación se confirma tras la revisión

Tras revisar su dictamen inicial, la Agencia Europea de Medicamentos ha confirmado su recomendación de denegar la autorización de comercialización del medicamento Albrioza. El medicamento estaba destinado al tratamiento de la esclerosis lateral amiotrófica.

Una vez realizada la revisión, la Agencia emitió su dictamen el 12 de octubre de 2023. La Agencia había emitido el dictamen inicial el 22 de junio de 2023. La empresa que solicitó la autorización de Albrioza es Amylyx Pharmaceuticals EMEA B.V.

### ¿Qué es Albrioza y a qué uso estaba destinado?

Albrioza es un medicamento que se desarrolló para adultos con esclerosis lateral amiotrófica (ELA). La ELA es una enfermedad progresiva del sistema nervioso en la que las neuronas del cerebro y la médula espinal encargadas de controlar el movimiento voluntario experimentan un deterioro progresivo, lo que provoca la pérdida de la función muscular y parálisis. El medicamento contiene dos principios activos, el fenilbutirato de sodio y la ursodoxicoltaurina, y se iba a presentar en forma de polvo para disolución en agua y administración por vía oral.

Albrioza fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 4 de junio de 2020 para el tratamiento de la ELA. Puede encontrarse más información sobre la designación de medicamento huérfano en la página web de la Agencia:

[ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2284](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2284).

### ¿Cómo actúa Albrioza?

No está totalmente claro cómo actúa Albrioza, pero se esperaba que los dos principios activos, el fenilbutirato de sodio y la ursodoxicoltaurina, redujeran el daño de las células nerviosas y evitaran su muerte. Se esperaba que esto ayudara a mantener la función muscular normal y ralentizara el empeoramiento de la enfermedad.



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

La empresa presentó los resultados de un estudio principal en el que participaron 137 pacientes con ELA que recibieron Albrioza o un placebo (un tratamiento ficticio) además del tratamiento habitual durante 24 semanas. El criterio principal de valoración de la eficacia fue la frecuencia con la que los síntomas de los pacientes, como la dificultad para hablar, respirar, comer y realizar otras actividades diarias normales, empeoraron durante el estudio. Esto se evaluó utilizando una escala de valoración estándar conocida como «Escala revisada de valoración funcional de la ELA» (ALSFRS-R). La empresa también presentó resultados sobre el tiempo de supervivencia global.

## **¿Cuáles fueron los motivos principales para denegar la autorización de comercialización?**

En el momento del dictamen inicial, emitido en junio de 2023, la Agencia tenía reservas porque el estudio principal no había demostrado de forma convincente que Albrioza fuera eficaz para ralentizar el empeoramiento de la enfermedad. Los datos sobre la supervivencia tampoco eran fiables, dada la forma en que se recopilaron y analizaron los datos. Por consiguiente, la Agencia consideró que no podía establecerse una relación positiva entre los beneficios y los riesgos de Albrioza. Por tanto, la Agencia recomendó denegar la autorización de comercialización. Al formular esta recomendación, la Agencia también tuvo en cuenta el asesoramiento de grupos de expertos, incluidos representantes de los pacientes y expertos en neurología.

Durante la revisión, la Agencia evaluó las respuestas de la empresa a sus reservas y consultó a un grupo de expertos en neurología. Tras la revisión, las reservas de la Agencia no se resolvieron y, por tanto, se confirmó la denegación inicial.

La Agencia también tuvo en cuenta varias intervenciones de terceros de asociaciones de pacientes con ELA, defensores de afectados por la ELA y una asociación nacional de neurología.

## **¿Qué consecuencias tiene esta denegación para los pacientes que participan en los ensayos clínicos?**

La empresa informó a la Agencia de que no hay consecuencias para los pacientes que actualmente participan en ensayos clínicos con Albrioza. Si participa usted en un ensayo clínico y precisa información adicional acerca de su tratamiento, hable con el médico encargado del ensayo clínico.