



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25. aprill 2025
EMA/128274/2025
EMA/H/C/006068

Dazluma (trorilusoolvesinikkloriidmonohüdraat) müügiloa taotluse tagasivõtmise teave

Biohaven Bioscience Ireland Limited võttis tagasi ravimi Dazluma müügiloa taotluse. Ravim oli näidustatud spinotserebellaarataksia 3. genotüübi (SCA3) raviks. See on pärilik ajuhäire, mis mõjutab koordinatsiooni ja tasakaalu.

Ettevõtte võttis taotluse tagasi 24. märtsil 2025.

Mis on Dazluma ja milleks kavatseti seda kasutada?

Dazlumad arendatakse ravimina, mida kavatsetakse kasutada täiskasvanutel SCA3 raviks. Hindamise ajal taotles ettevõtte näidustuse laiendamist, et see hõlmaks spinotserebellaarataksia kõiki vorme. Spinotserebellaarataksia korral kahjustuvad ja hävivad väikeaju (aju osa, mis juhib liigutusi ja tasakaalu) närvirakud. Selle tulemuseks on süvenevad koordinatsiooni-, kõne-, kõndimis- ja tasakaaluhäired.

Dazluma sisaldab toimeainet trorilusoolhüdrokloriidmonohüdraati ja seda kavatseti turustada suukaudsete kapslitena.

Dazluma nimetati 10. detsembril 2021 spinotserebellaarataksia harvikravimiks (ravim, mida kasutatakse harvaesinevate haiguste korral). Lisateave harvikravimiks nimetamise kohta on [ameti veebilehel](#).

Kuidas Dazluma toimib?

Dazluma toimeaine trorilusoolhüdrokloriidmonohüdraat on rilusooli eelravim. See tähendab, et ravim muundub organismis aktiivseks rilusooliks.

Glutamaadi (keemiline aine, mis võimaldab närvirakkudel suhelda teiste rakkudega) suur sisaldus suurendab väikeaju retseptorite (valkude) stimuleerimist. See võib suurendada närvirakkude kaltsiumisisaldust, mis võib põhjustada nende surma. Arvatakse, et trorilusooli toimemehhanism spinotserebellaarataksia korral vähendab glutamaadi sisaldust närvirakkude vahelistes seostes. See võib muuta väikeaju närvirakkude, mis aitavad reguleerida tasakaalu ja koordinatsiooni, hüpereksteeritavust (kui närvirakud muutuvad liiga tundlikuks).

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



Mis dokumendid esitas ettevõtte oma taotluse toetuseks?

Ettevõtte esitas andmed põhiuuringust, milles osales 218 spinotserebellaarataksia (sh SCA3) eri vormidega täiskasvanut ja milles võrreldi Dazlumata platseeboga (näiv ravim). Efektiivsuse põhinäitaja oli sümptomite raskusastme muutus, mida mõõdeti ataksia (f-SARA) hindamise ja hindamise funktsionaalse skaala abil pärast 48-nädalast ravi. f-SARA mõõdab isiku suutlikkust täita ülesandeid, mis näitavad, kui hästi nad saavad oma liigutusi kontrollida ja tasakaalu hoida. Skoorid on vahemikus 0–16, kusjuures suuremad skoorid viitavad raskemale ataksiale. Hindamise ajal esitas ettevõtte ka reaalandmed spinotserebellaarataksiaga patsientide kohta, milles võrreldi haiguse progresseerumist Dazlumaga ravitud patsientidel ja patsientidel, kes ravi ei saanud.

Mis järgus oli müügiloa taotluse hindamine, kui see tagasi võeti?

Ettevõtte võttis taotluse tagasi pärast seda, kui Euroopa Raviamet oli hinnanud ettevõtte esitatud teavet ja koostanud ettevõttele vastamiseks küsimused. Euroopa Raviamet oli ettevõttele esitatud viimaste küsimuste vastused läbi vaadanud, kuid mõni probleem oli veel lahendamata.

Mis oli sel ajal Euroopa Raviameti soovitus?

Tuginedes esitatud andmete analüüsile ja ettevõtte vastustele ameti esitatud küsimustele, nägi amet taotluse tagasivõtmise ajal põhjust ettevaatlikkuseks ja oli esialgsel seisukohal, et Dazluma kasutamist spinotserebellaarataksia raviks ei ole võimalik heaks kiita.

Et põhiuuringu tulemustest ei ilmnenud, et Dazluma oleks spinotserebellaarataksiaga ravis efektiivsem kui platseebo, leidis amet, et selle põhjal ei saa järeldusi teha. Ettevõtte võrdles ka Dazluma efektiivsust ravimata patsientide tegelike andmetega. Amet leidis siiski, et selle võrdluse tulemused ei ole kehtivad, sest Dazlumaga ravitud patsientide ja ravimata patsientide haiguse progresseerumise erinevust võisid mõjutada ka muud tegurid kui need, mida ettevõtte kaalus oma analüüsis. Seetõttu oli amet müügiloa taotluse tagasivõtmise ajal arvamusel, et Dazluma efektiivsus spinotserebellaarataksia ravis ei ole tõendatud.

Ettevõtte oli taotlenud Dazluma määramist uueks toimeaineks põhjusel, et tema toimeaine tõhusus ja ohutus erinevad oluliselt Euroopa Liidus juba müügiloa saanud ravimi tõhususest ja ohutusest. Amet leidis, et ettevõtte ei ole tõendanud, et trorilusoolvesinikkloriidmonohüdraadi efektiivsus või ohutus erineb oluliselt selle aktiivsest vormist rilusoolist, millel on ELis juba müügiluba ravimina kasutamiseks. Seetõttu ei saanud amet praegu esitatud teabe põhjal järeldada, et trorilusoolhüdrokloriidmonohüdraat on uus toimeaine.

Mis põhjustel võttis ettevõtte taotluse tagasi?

Oma [kirjas](#), milles teavitatakse ametit taotluse tagasivõtmisest, teatas ettevõtte, et kavatseb koguda täiendavaid andmeid, mis toetavad troriloolvesinikkloriidmonohüdraadi uue toimeaine staatust, ning esitada pärast nende andmete saamist uue taotluse.

Kuidas mõjutab tagasivõtmine praegu kliinilistes uuringutes või eriloaga kasutamise programmides osalevaid patsiente?

Ettevõtte teatas Euroopa Ravimiametile, et taotluse tagasivõtmine ei mõjuta praegu Dazluma kliinilistes uuringutes osalevaid patsiente. Ettevõtte algatab eriloaga kasutamise programme.

Kui osalete ravimi kliinilises uuringus ja vajate ravi kohta lisateavet, rääkige kliinilise uuringu arstiga.