



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13. oktoober 2023
EMA/500743/2023
EMA/H/C/005901

Müügiloa andmisest keeldumise teave: Albrioza (naatriumfenüülbutüraat/ursodoksikooltauriin)

Taasläbivaatamisel kinnitati keeldumist

Pärast algse otsuse taasläbivaatamist kinnitas Euroopa Ravimiamet oma soovitus keelduda ravimi Albrioza müügiloa andmisest. Ravim oli näidustatud amüotroofilise lateraalskleroosi raviks.

Amet avaldas oma arvamuse pärast taasläbivaatamist 12. oktoobril 2023. Amet esitas oma esialgse arvamuse 22. juunil 2023. Albrioza müügiluba taotles ettevõtte Amylyx Pharmaceuticals EMEA B.V.

Mis on Albrioza ja milleks kavatseti seda kasutada?

Albrioza töötati välja amüotroofilise lateraalskleroosiga (ALS) täiskasvanute raviks. Amüotroofilise lateraalskleroos on progresseeruv närvisüsteemi haigus, mille korral tahtlikke liigutusi reguleerivad pea- ja seljaaju närvirakud järk-järgult degenereeruvad, mis põhjustab lihastalitluse vähenemist ja paralüüsi. Ravim sisaldab kaht toimeainet, naatriumfenüülbutüraati ja ursodoksikooltauriini, ning seda kavatseti turustada vees lahustatava suukaudse pulbrina.

Albrioza nimetati 4. juunil 2020 amüotroofilise lateraalskleroosi harvikravimiks (ravim, mida kasutatakse harvaesinevate haiguste korral). Lisateave harvikravimiks nimetamise kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2284.

Kuidas Albrioza toimib?

Ei ole täiesti selge, kuidas Albrioza toimib, kuid eeldatakse, et kaks toimeainet – naatriumfenüülbutüraat ja ursodoksikooltauriin – vähendavad närvirakkude kahjustust ja hoiavad ära nende surma. Eeldati, et see aitab säilitada normaalset lihastalitlust ja aeglustab haiguse süvenemist.

Mis dokumendid esitas ettevõtte oma taotluse toetuseks?

Ettevõtte esitas tulemused ühest põhiuuringust, milles osales 137 amüotroofilise lateraalskleroosiga patsienti, kes said 24 nädala jooksul lisaks standardravile kas Albriozat või platseebot (näiv ravim). Efektiivsuse põhinäitaja oli patsientide sümptomite (nt kõnelemis-, hingamis-, söömisraskuste ja muude argitegevuste sooritamise raskuste) süvenemise kiirus uuringu ajal. Seda hinnati standardse hindamisskaalaga „ALSi funktsionaalne muudetud hindamisskaala“ (ALS functional rating scale revised, ALSFRS-R). Ettevõtte esitas ka tulemused kogu elumuse aja kohta.

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 olid müügiloo andmisest keeldumise peamised põhjused?

Esialgse arvamuse esitamise ajal 2023. aasta juunis pidas amet probleemseks, et põhiuuring ei tõendanud veenvalt, et Albriozat oli haiguse süvenemise aeglustamisel efektiivne. Elumuse andmed ei olnud samuti usaldusväärsed, arvestades viisi, kuidas andmeid koguti ja analüüsiti. Seetõttu oli amet arvamusel, et Albriozat kasulikkuse ja riskide positiivset tasakaalu ei ole võimalik kindlaks teha. Seepärast soovitas amet müügiloo andmisest keelduda. Soovituse andmisel võttis amet arvesse ka eksperdirühmade, sh patsientide esindajate ja neuroloogiaekspertide nõuandeid.

Taasläbivaatamisel hindas amet ettevõtte vastuseid ameti küsimustele ja konsulteeris neuroloogiaekspertide rühmaga. Ameti tõstatatud probleemid ei olnud pärast taasläbivaatamist lahendatud ja seega kinnitati esialgne keeldumine.

Amet võttis arvesse ka mitut kolmanda isiku sekkumist, mille olid esitanud amüotroofilise lateraalskleroosi patsientide ühendused, amüotroofilise lateraalskleroosi toetusrühmad ja riiklik neuroloogialiit.

Kas keeldumine mõjutab kliinilistes uuringutes osalevaid patsiente?

Ettevõtte teatas Euroopa Ravimiametile, et taotluse tagasivõtmine ei mõjuta praegu Albriozat kliinilistes uuringutes osalevaid patsiente. Kui osalete ravimi kliinilises uuringus ja vajate ravi kohta lisateavet, rääkige kliinilise uuringu arstiga.