



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Dazluma (trorilutsolihydrokloridimonohydraatti) koskevan myyntilupahakemuksen peruuttaminen

Biohaven Bioscience Ireland Limited peruutti Dazluma-lääkevalmistetta koskevan myyntilupahakemuksensa. Dazluma oli tarkoitettu spinoserebellaarisen ataksian genotyypin 3 (SCA3) hoitoon. Se on perinnöllinen aivosairaus, joka vaikuttaa koordinaatioon ja tasapainoon.

Yhtiö peruutti hakemuksen 24. maaliskuuta 2025.

Mitä Dazluma on ja mihin sitä oli tarkoitus käyttää?

Dazlumaa kehitetään lääkkeeksi, jota käytetään aikuisilla SCA3:n hoitoon. Arvioinnin aikana yhtiö haki käyttöaiheen laajentamista siten, että siihen sisällytettäisiin kaikki spinoserebellaarisen ataksian muodot. Spinoserebellaarisessa ataksiassa hermosolut pikkuaivoissa (aivojen osa, joka hallitsee liikettä ja tasapainoa) vahingoittuvat ja kuolevat. Tämä johtaa eteneviin koordinaatio-, puhe-, kävely- ja tasapaino-ongelmiin.

Dazluman vaikuttava aine on trorilutsolihydrokloridimonohydraatti, ja sitä oli määrä olla saatavana suun kautta otettavina kapseleina.

Dazluma nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 10. joulukuuta 2021 spinoserebellaarisen ataksian hoitoon. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on [viraston verkkosivuilla](#).

Miten Dazluma vaikuttaa?

Dazluman vaikuttava aine trorilutsolihydrokloridimonohydraatti on rilutsolin aihiolääke. Tämä tarkoittaa, että se muuntuu elimistössä aktiiviseen muotoonsa rilutsoliksi.

Korkea glutamaattipitoisuus lisää pikkuaivojen reseptorien (proteiinien) stimulointia. Glutamaatti on kemikaali, jonka avulla hermosolut voivat viestiä muiden solujen kanssa. Korkea glutamaattipitoisuus saattaa lisätä kalsiumin määrää hermosoluissa, mikä voi johtaa niiden kuolemaan. Trorilutsolin vaikutusmekanismiin spinoserebellaarisessa ataksiassa oletetaan vähentävän glutamaattipitoisuutta hermosolujen välisissä yhteyksissä. Tämä saattaa muuttaa hermosolujen yliherkkyyttä pikkuaivoissa, mikä auttaa kontrolloimaan tasapainoa ja koordinaatiota.

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



Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö esitti tiedot päätutkimuksesta, johon osallistui 218 aikuista, jotka sairastivat erilaisia spinoserebellaarisen ataksian muotoja, mukaan lukien SCA3:a. Siinä Dazluma verrattiin lumelääkkeeseen. Tehon pääasiallisena mittana oli oireiden vaikeuden muutos, jota mitattiin 48 viikon hoidon jälkeen käyttämällä ataksian arvioinnin ja luokituksen toiminnallista asteikkoa (f-SARA). F-SARA mittaa henkilön kykyä suorittaa tehtäviä, jotka osoittavat, miten hyvin hän pystyy hallitsemaan liikkeitään ja säilyttämään tasapainonsa. Pisteet vaihtelevat välillä 0–16, ja korkeammat pisteet viittaavat vaikeampaan ataksiaan. Arvioinnin aikana yhtiö esitti myös reaali maailman dataa spinoserebellaarista ataksiaa sairastavista potilaista ja vertasi Dazlumalla hoidettujen potilaiden sairauden etenemistä potilaisiin, jotka eivät saaneet mitään hoitoa.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli, kun se peruutettiin?

Yhtiö peruutti hakemuksen sen jälkeen, kun Euroopan lääkevirasto oli arvioinut yhtiön toimittamat tiedot ja laatinut kysymyksiä yhtiölle. Kun virasto oli arvioinut yhtiön viimeisiin kysymyksiin antamat vastaukset, joitakin seikkoja oli vielä selvittämättä.

Mikä oli viraston suositus tuolloin?

Virasto suhtautui saamiensa tietojen ja yhtiön kysymysluetteloon antamien vastausten tarkastelun perusteella varauksellisesti joihinkin seikkoihin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ja sen alustava kanta oli, että Dazluma ei olisi voitu hyväksyä spinoserebellaarisen ataksian hoitoon.

Koska päätutkimuksen tulokset eivät osoittaneet, että Dazluma olisi lumelääkettä tehokkaampi spinoserebellaarisen ataksian hoidossa, virasto katsoi, ettei siitä voida tehdä johtopäätöksiä. Yhtiö vertasi myös Dazluman tehoa hoitamattomista potilaista saatuun reaali maailman dataan. Lääkevirasto katsoi kuitenkin, että tämän vertailun tulokset eivät olleet päteviä, sillä yhtiön analyysiä varten huomioon ottamien tekijöiden lisäksi muut tekijät ovat saattaneet vaikuttaa Dazlumalla hoidettujen ja hoitamattomien potilaiden sairauden etenemisen eroon. Siksi virasto katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, että Dazluman tehoa spinoserebellaarisen ataksian hoidossa ei ole osoitettu.

Yhtiö oli hakenut Dazluman nimeämistä uudeksi vaikuttavaksi aineeksi sillä perusteella, että sen vaikuttavan aineen teho ja turvallisuus eroavat merkittävästi sellaisen lääkkeen tehosta ja turvallisuudesta, jolla on jo myyntilupa Euroopan unionin alueella. Virasto katsoi, ettei yhtiö ollut osoittanut, että trorilutsolihiydrokloridimonohydraatin teho tai turvallisuus eroaisi merkittävästi sen aktiivisesta muodosta rilutsolista, joka on jo hyväksytty käytettäväksi lääkkeenä EU:ssa. Näin ollen virasto ei pystynyt tuolloin toimitettujen tietojen perusteella tekemään johtopäätöstä siitä, että trorilutsolihiydrokloridimonohydraatti on uusi vaikuttava aine.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

[Kirjeessään](#), jossa yhtiö ilmoittaa virastolle hakemuksen peruuttamisesta, se toteaa, että se aikoo hankkia lisätietoja tukemaan trorilutsolihydrokloridimonohydraatin uutta vaikuttavan aineen statusta ja aikoo toimittaa uuden hakemuksen näiden tietojen hankkimisen jälkeen.

Vaikuttaako hakemuksen peruuttaminen klinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin osallistuviin potilaisiin?

Yhtiö ilmoitti virastolle, että peruuttamisesta ei ole mitään seurauksia potilaille, jotka osallistuvat Dazlumaan koskeviin klinisiin tutkimuksiin. Yhtiö on aloittamassa erityiskäyttöohjelmia.

Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, keskustele asiasta klinisen tutkimuksen lääkärin kanssa.