



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13. lokakuuta 2023
EMA/500744/2023
EMA/H/C/005901

Albriozaa (*natriumfenyylibutyraatti/ursodoksikoltauriini*) koskevan myyntiluvan epääminen

Epääminen vahvistettu uudelleenarvioinnissa

Euroopan lääkevirasto on alkuperäisen lausuntonsa uudelleenarvioinnin jälkeen vahvistanut suosituksensa evätä Albrioza-valmisteen myyntilupahakemus. Lääke oli tarkoitettu amyotrofisen lateraaliskleroosin hoitoon.

Virasto antoi lausuntonsa uudelleenarvioinnin jälkeen 12. lokakuuta 2023. Virasto oli antanut ensimmäisen lausuntonsa 22. kesäkuuta 2023. Myyntilupaa Albriozalle haki Amylyx Pharmaceuticals EMEA B.V.

Mitä Albrioza on ja mihin sitä oli tarkoitus käyttää?

Albrioza kehitettiin lääkkeeksi aikuisille, joilla on amyotrofinen lateraaliskleroosi (ALS). ALS on etenevä hermostosairaus, jossa tahdonalaisia liikkeitä ohjaavat aivojen ja selkärangan hermosolut rappeutuvat vähitellen. Tämä johtaa lihasten toimintakyvyn menetykseen ja halvaantumiseen. Lääke sisältää kahta vaikuttavaa ainetta, natriumfenyylibutyraattia ja ursodoksikoltauriinia, ja sen oli määrä olla saatavana jauheena, joka liuotetaan veteen ja otetaan suun kautta.

Albrioza nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisissa sairauksissa käytettävä lääke) 4. kesäkuuta 2020 ALS:n hoitoon. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on viraston verkkosivuilla:
ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2284

Miten Albrioza vaikuttaa?

Ei ole täysin selvää, miten Albrioza vaikuttaa, mutta kahden vaikuttavan aineen, natriumfenyylibutyraatin ja ursodoksikoltauriinin, odotettiin vähentävän hermosolujen vaurioita ja estävän niiden kuoleminen. Tämän odotettiin auttavan lihasten normaalin toiminnan ylläpitämisessä ja hidastavan sairauden pahenemista.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö toimitti tulokset yhdestä päätutkimuksesta, johon osallistui 137 ALS-potilasta, jotka saivat joko Albriozaa tai lumelääkettä tavanomaisen hoitonsa lisäksi 24 viikon ajan. Tehon pääasiallisena mittana oli se, kuinka nopeasti potilaiden oireet, kuten vaikeus puhua, hengittää, syödä ja suorittaa muita



tavanomaisia päivittäisiä toimintoja, pahenivat tutkimuksen aikana. Tätä arvioitiin käyttämällä standardiluokitusasteikkoa, joka tunnetaan nimellä tarkistettu ALS-toimintakykyluokitus (ALSFRS-R). Yhtiö toimitti myös tulokset kokonaiseloonjäämisajasta.

Mitkä olivat tärkeimmät syyt myyntiluvan epäämiseen?

Kun alkuperäinen lausunto annettiin kesäkuussa 2023, virastolla oli huolenaiheita siitä, että päätutkimus ei osoittanut vakuuttavasti Albriozan olevan tehokas sairauden pahenemisen hidastamisessa. Eloonjäämistiedot eivät myöskään olleet luotettavia, kun otetaan huomioon tapa, jolla tiedot kerättiin ja analysoitiin. Siksi virasto katsoi, että Albriozan hyöty-riski-tasapainoa ei voitu vahvistaa. Näin ollen virasto suositteli myyntilupahakemuksen epäämistä. Tätä suositusta antaessaan virasto otti huomioon myös asiantuntijaryhmiltä, muun muassa potilaiden edustajilta ja neurologian asiantuntijoilta, saadut lausunnot.

Uudelleenarvioinnin aikana virasto arvioi yhtiön vastaukset huolenaiheisiinsa ja kuuli neurologian asiantuntijaryhmää. Uudelleentarkastelun jälkeen viraston huolenaiheita ei saatu ratkaistua, minkä vuoksi alkuperäinen hylkäävä päätös vahvistettiin.

Virasto otti huomioon myös useita kolmannen osapuolen interventioita ALS-potilasyhdistyksiltä, ALS-asianajajilta ja kansalliselta neurologian järjestöltä.

Vaikuttaako tämä epääminen klinisiin tutkimuksiin osallistuviin potilaisiin?

Yhtiö ilmoitti virastolle, että epäämisestä ei ole mitään seurauksia potilaille, jotka osallistuvat Albriozaa koskeviin klinisiin tutkimuksiin. Jos olet mukana klinisessä tutkimuksessa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, ota yhteyttä klinisen tutkimuksen lääkäriin.