



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13 octobre 2023  
EMA/500745/2023  
EMA/H/C/005901

## Refus de l'autorisation de mise sur le marché pour *Albrioza (phénylbutyrate de sodium/ursodoxicoltaurine)*

Le réexamen confirme le refus.

Après avoir réexaminé son avis initial, l'Agence européenne des médicaments a confirmé sa recommandation de refuser l'autorisation de mise sur le marché pour le médicament Albrioz. Le médicament était destiné au traitement de la sclérose latérale amyotrophique.

L'Agence a rendu son avis après réexamen le 12 octobre 2023. L'Agence avait rendu son avis initial le 22 juin 2023. La société ayant demandé l'autorisation de mise sur le marché pour Albrioz est Amylyx Pharmaceuticals EMEA B.V.

### **Qu'est-ce qu'Albrioza et dans quel cas devait-il être utilisé?**

Albrioza a été développé en tant que médicament pour adultes atteints de sclérose latérale amyotrophique (SLA). La SLA est une maladie évolutive du système nerveux, dans laquelle les cellules nerveuses du cerveau et de la moelle épinière qui contrôlent les mouvements volontaires se détériorent progressivement, provoquant une perte de la fonction musculaire et une paralysie. Le médicament contient deux substances actives, le phénylbutyrate de sodium et l'ursodoxicoltaurine, et devait être disponible sous la forme d'une poudre à dissoudre dans l'eau à ingérer oralement.

Albrioza a été désigné comme étant un «médicament orphelin» (médicament utilisé pour des maladies rares), le 4 juin 2020, pour le traitement de la SLA. Des informations complémentaires sur la désignation de médicament orphelin sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2284](https://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2284).

### **Comment Albrioz agit-il?**

Le fonctionnement d'Albrioza n'est pas parfaitement clair, mais les deux substances actives, le phénylbutyrate de sodium et l'ursodoxicoltaurine, devaient réduire les dommages causés aux cellules nerveuses et les empêcher de mourir, ce qui devait contribuer au maintien d'une fonction musculaire normale et ralentir l'aggravation de la maladie.

---

**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](https://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](https://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Quelle a été la documentation présentée par la société pour justifier sa demande?**

La société a fourni les résultats d'une étude principale portant sur 137 patients atteints de SLA qui ont reçu soit Albrioz, soit un placebo (un traitement fictif) en plus de leur traitement standard pendant 24 semaines. Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était la fréquence à laquelle les symptômes des patients, tels que les difficultés à parler, à respirer, à manger et à réaliser d'autres activités quotidiennes normales, se sont aggravés au cours de l'étude. Cette évaluation a été réalisée à l'aide d'une échelle d'évaluation standard connue sous le nom d'«échelle d'évaluation fonctionnelle révisée de la SLA» (ALSFRS-R). La société a également fourni des résultats concernant la durée de survie globale.

## **Quels étaient les principaux motifs ayant conduit au refus de l'autorisation de mise sur le marché?**

Au moment de l'avis initial de juin 2023, l'Agence était préoccupée par le fait que l'étude principale ne démontrait pas de manière convaincante qu'Albrioz était efficace pour ralentir l'aggravation de la maladie. Les données concernant la survie n'étaient pas non plus fiables, compte tenu de la manière dont elles avaient été collectées et analysées. Par conséquent, l'Agence a estimé qu'il n'était pas possible d'établir un rapport bénéfices/risques positif pour Albrioz. L'Agence a donc recommandé le refus de l'autorisation de mise sur le marché. En formulant cette recommandation, l'Agence a également pris en considération les conseils de groupes d'experts, comprenant des représentants des patients et des experts en neurologie.

Au cours du réexamen, l'Agence a évalué les réponses apportées par la société à ses préoccupations et a consulté un groupe d'experts en neurologie. Après réexamen, les craintes de l'Agence n'ont pas été levées et le refus initial a donc été confirmé.

L'Agence a également pris en considération plusieurs interventions de tiers provenant d'associations de patients atteints de SLA, de porte-paroles de la lutte contre la SLA et d'une association nationale de neurologie.

## **Ce refus a-t-il des conséquences pour les patients participant aux essais cliniques?**

La société a informé l'Agence qu'il n'y a aucune conséquence pour les patients actuellement inclus dans des essais cliniques utilisant Albrioz. Si vous participez à un essai clinique et que vous souhaitez obtenir des informations complémentaires sur votre traitement, contactez le médecin qui dirige l'essai clinique.