



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Povlačenje zahtjeva za izdavanje odobrenja za stavljanje u promet lijeka Dazluma (troriluzol hidroklorid monohidrat)

Tvrtka Biohaven Bioscience Ireland Limited povukla je svoj zahtjev za izdavanje odobrenja za stavljanje u promet lijeka Dazluma za liječenje spinocerebelarne ataksije genotipa 3 (SCA3), nasljednog poremećaja mozga koji utječe na koordinaciju i ravnotežu.

Tvrtka je povukla zahtjev 24. ožujka 2025.

### Što je Dazluma i za što se trebao koristiti?

Dazluma se razvija kao lijek koji će se koristiti u odraslih osoba za liječenje bolesti SCA3. Tijekom procjene tvrtka je podnijela zahtjev za proširenje indikacije kako bi se uključili svi oblici spinocerebelarne ataksije. U spinocerebelarnoj ataksiji živčane stanice u malom mozgu (dio mozga koji upravlja kretanjem i ravnotežom) oštećuju se i odumiru. To dovodi do progresivnih problema s koordinacijom, govorom, hodom i ravnotežom.

Dazluma sadrži djelatnu tvar troriluzol hidroklorid monohidrat i trebao je biti dostupan u obliku kapsula koje se uzimaju kroz usta.

Dazluma je uvršten na popis lijekova za rijetke bolesti dana 10. prosinca 2021. za liječenje spinocerebelarne ataksije. Više informacija o statusu lijekova za rijetke bolesti dostupno je na [mrežnom mjestu Agencije](#).

### Kako djeluje Dazluma?

Djelatna tvar lijeka Dazluma, troriluzol hidroklorid monohidrat, predlijek je riluzola. To znači da se u tijelu pretvara u svoj djelatni oblik riluzol.

Visoke razine glutamata, kemikalije koja omogućuje komunikaciju živčanih stanica s drugim stanicama, povećavaju stimulaciju receptora (proteina) u malom mozgu. Time se mogu povećati razine kalcija u živčanim stanicama, što može uzrokovati njihovo odumiranje. Smatra se da mehanizam djelovanja troriluzola u spinocerebelarnoj ataksiji smanjuje razinu glutamata u vezama među živčanim stanicama.

---

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

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

An agency of the European Union



Time se može promijeniti hiperekscitabilnost u živčanim stanicama (kada živčane stanice postanu pretjerano osjetljive) u malom mozgu, što pomaže u kontroli ravnoteže i koordinacije.

## **Što je tvrtka dostavila u prilog svom zahtjevu?**

Tvrtka je predstavila podatke iz glavnog ispitivanja u kojem je sudjelovalo 218 odraslih osoba s različitim oblicima spinocerebelarne ataksije, uključujući SCA3, u kojem je lijek Dazluma uspoređen s placebo (prividnim liječenjem). Glavno mjerilo učinkovitosti bila je promjena težine simptoma izmjerena primjenom funkcionalne ljestvice za procjenu i ocjenjivanje ataksije (engl. *functional scale for the assessment and rating of ataxia*, f-SARA) nakon 48 tjedana liječenja. Ljestvicom f-SARA mjeri se sposobnost osobe da obavlja zadatke koji pokazuju koliko dobro može kontrolirati svoje pokrete i održavati ravnotežu. Rezultati su u rasponu od 0 do 16, pri čemu veći rezultati upućuju na težu ataksiju. Tijekom procjene tvrtka je dostavila i stvarne podatke za bolesnike koji boluju od spinocerebelarne ataksije, u kojima je uspoređeno napredovanje bolesti u bolesnika koji su primali lijek Dazluma u odnosu na bolesnike koji nisu primali nikakvu terapiju.

## **U kojoj je fazi bila procjena zahtjeva kada je povučen?**

Tvrtka je povukla zahtjev nakon što je Europska agencija za lijekove procijenila informacije koje je tvrtka dostavila i sastavila pitanja za tvrtku. Nakon što je Agencija procijenila odgovore tvrtke na posljednji niz pitanja, još su uvijek postojale neke nedoumice.

## **Koja je bila preporuka Agencije u tom trenutku?**

Na temelju pregleda podataka i odgovora tvrtke na pitanja Agencije, u trenutku povlačenja Agencija je smatrala da postoje razlozi za zabrinutost te je njezino privremeno mišljenje bilo da nije moguće dati odobrenje za lijek Dazluma za liječenje spinocerebelarne ataksije.

Budući da nalazi glavnog ispitivanja nisu pokazali da je lijek Dazluma učinkovitiji od placeba u liječenju spinocerebelarne ataksije, Agencija je smatrala da se na temelju njega ne mogu donijeti nikakvi zaključci. Tvrtka je također usporedila učinkovitost lijeka Dazluma s podacima iz stvarnih uvjeta dobivenima od neliječenih bolesnika. Međutim, Agencija je smatrala da rezultati te usporedbe nisu valjani jer su dodatni čimbenici uz one koje je tvrtka razmatrala za svoju analizu mogli utjecati na razliku u napredovanju bolesti između bolesnika koji su primali lijek Dazluma i neliječenih bolesnika. Sukladno navedenome, Agencija je u vrijeme povlačenja smatrala da nije dokazana učinkovitost lijeka Dazluma za liječenje spinocerebelarne ataksije.

Tvrtka je podnijela zahtjev za određivanje lijeka Dazluma kao nove djelatne tvari na temelju činjenice da se učinkovitost i sigurnost primjene njegove djelatne tvari značajno razlikuju od onih za lijek koji je već odobren u Europskoj uniji (EU). Agencija je smatrala da tvrtka nije dokazala da se učinkovitost ili sigurnost primjene troriluzol hidroklorid monohidrata značajno razlikuju od njegova aktivnog oblika riluzola, koji je već odobren za primjenu kao lijek u EU-u. Sukladno navedenome, Agencija nije mogla zaključiti da je troriluzol hidroklorid monohidrat nova djelatna tvar na temelju podataka dostavljenih u ovom trenutku.

## **Koje je razloge za povlačenje zahtjeva navela tvrtka?**

U svojem [dopisu](#) kojim obavještava Agenciju o povlačenju zahtjeva, tvrtka je navela da planira prikupiti dodatne podatke kojima bi potkrijepila status nove djelatne tvari za troriluzol hidroklorid monohidrat te da namjerava podnijeti novi zahtjev nakon dobivanja tih podataka.

## **Ima li ovo povlačenje zahtjeva posljedice za bolesnike u kliničkim ispitivanjima ili u programima milosrdnog davanja lijekova?**

Tvrtka je obavijestila Agenciju da nema posljedica za bolesnike u kliničkim ispitivanjima u kojima se koristi lijek Dazluma. Tvrtka započinje s provedbom programa milosrdnog davanja lijekova.

Ako sudjelujete u kliničkom ispitivanju te vam je potrebno više informacija o liječenju, obratite se liječniku koji vodi vaše kliničko ispitivanje.