



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13. listopada 2023.
EMA/500746/2023
EMA/H/C/005901

Odbijanje odobrenja za stavljanje u promet lijeka Albrioza (*natrijev fenilbutirat / ursodoksikolaurin*)

Odbijanje se potvrđuje nakon preispitivanja

Nakon preispitivanja svojeg prvotnog mišljenja Europska agencija za lijekove potvrdila je svoju preporuku o odbijanju odobrenja za stavljanje u promet lijeka Albrioza. Lijek je bio namijenjen za liječenje amiotrofične lateralne skleroze.

Agencija je donijela svoje mišljenje 12. listopada 2023. nakon preispitivanja. Agencija je svoje prvotno mišljenje donijela 22. lipnja 2023. Zahtjev za izdavanje odobrenja za lijek Albrioza podnijela je tvrtka Amylyx Pharmaceuticals EMEA B.V.

Što je Albrioza i za što je lijek bio namijenjen?

Lijek Albrioza razvijen je kao lijek za odrasle osobe oboljele od amiotrofične lateralne skleroze (ALS). ALS je progresivna bolest živčanog sustava kod koje postupno odumiru živčane stanice u mozgu i leđnoj moždini koje kontroliraju dobrovoljne pokrete, što uzrokuje gubitak mišićne funkcije i paralizu. Lijek sadrži dvije djelatne tvari, natrijev fenilbutirat i ursodoksikolaurin, te je trebao biti dostupan kao prašak za otapanje u vodi i primjenu kroz usta.

Lijek Albrioza uvršten je na popis lijekova za rijetke bolesti 4. lipnja 2020. za liječenje ALS-a. Više informacija o statusu lijekova za rijetke bolesti dostupno je na mrežnom mjestu Agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2284.

Kako djeluje Albrioza?

Nije potpuno jasno kako Albrioza djeluje, ali očekivalo se da će dvije djelatne tvari, natrijev fenilbutirat i ursodoksikolaurin, smanjiti oštećenje živčanih stanica i spriječiti njihovo odumiranje. Očekivalo se da će to doprinijeti održavanju normalne funkcije mišića i usporiti pogoršanje bolesti.

Što je tvrtka dostavila u prilog svom zahtjevu?

Tvrtka je dostavila rezultate jednog glavnog ispitivanja koje je obuhvatilo 137 osoba oboljelih od ALS-a koje su tijekom 24 tjedna primale lijek Albrioza ili placebo (prividno liječenje) uz svoje standardno liječenje. Glavno mjerilo učinkovitosti bila je stopa pogoršanja simptoma u bolesnika, kao što su poteškoće u govorenju, disanju, jedenju i obavljanju drugih uobičajenih svakodnevnih aktivnosti,

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



tijekom ispitivanja. To je procijenjeno s pomoću standardne ljestvice koja se naziva „revidirana ljestvica za funkcionalnu ocjenu ALS-a“ (ALSFRS-R). Tvrtka je također dostavila rezultate o ukupnom vremenu preživljenja.

Koji su bili glavni razlozi za odbijanje odobrenja za stavljanje lijeka u promet?

U trenutku donošenja prvotnog mišljenja u lipnju 2023. Agencija je izrazila zabrinutost što glavno ispitivanje nije uvjerljivo pokazalo da je lijek Albriozu učinkovit u pogledu usporavanja pogoršanja bolesti. Podatci o preživljenju također nisu bili pouzdani s obzirom na način na koji su prikupljeni i analizirani. Stoga je mišljenje Agencije bilo da nije moguće utvrditi pozitivan omjer koristi i rizika lijeka Albriozu. Zbog toga je Agencija preporučila odbijanje odobrenja za stavljanje lijeka u promet. Pri davanju te preporuke Agencija je uzela u obzir i savjete stručnih skupina, uključujući predstavnike bolesnika i stručnjake za neurologiju.

Tijekom preispitivanja Agencija je procijenila odgovore tvrtke na razloge za zabrinutost koje je iznijela Agencija te se savjetovala sa skupinom stručnjaka za neurologiju. Nakon preispitivanja razlozi za zabrinutost Agencije nisu otklonjeni te je stoga potvrđeno prvotno odbijanje.

Agencija je također uzela u obzir nekoliko intervencija trećih strana iz udruga osoba oboljelih od ALS-a, subjekata za zaštitu interesa osoba oboljelih od ALS-a i nacionalne udruge za neurologiju.

Ima li ovo odbijanje posljedice za bolesnike u kliničkim ispitivanjima?

Tvrtka je obavijestila Agenciju da nema posljedica za bolesnike koji su trenutačno uključeni u klinička ispitivanja lijeka Albriozu. Ako sudjelujete u kliničkom ispitivanju te vam je potrebno više informacija o liječenju, obratite se liječniku koji vodi vaše kliničko ispitivanje.