



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

A Dazluma (troriluzol-hidroklorid-monohidrát) forgalombahozatali engedélye iránti kérelem visszavonása

A Biohaven Bioscience Ireland Limited visszavonta a 3-as genotípusú spinocerebellaris ataxia (SCA3) kezelésére szánt Dazluma-ra vonatkozó forgalombahozatali engedély iránti kérelmét. A betegség egy örökölt agyi rendellenesség, amely hatással van a koordinációra és az egyensúlyra.

A vállalat 2025. március 24-én vonta vissza a kérelmet.

Milyen típusú gyógyszer a Dazluma és milyen alkalmazásra szánták?

A Dazluma-t az SCA3 kezelésére felnőtteknél alkalmazandó gyógyszerként fejlesztették ki. Az értékelés során a vállalat kérelmezte a javallat kiterjesztését a spinocerebellaris ataxia valamennyi formájára. Spinocerebellaris ataxia esetében a kisagy (az agynak a mozgást és az egyensúlyt irányító része) idegsejtjei károsodnak és elpusztulnak. Ez progresszív problémákat eredményez a koordináció, a beszéd, a járás és az egyensúly terén.

A Dazluma hatóanyaga a troriluzol-hidroklorid-monohidrát, és szájon át szedendő kapszulák formájában kívánták forgalomba hozni.

A Dazluma-t 2021. december 10-én a spinocerebellaris ataxia kezelése tekintetében „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. A ritka betegség elleni gyógyszerre minősítésről további információ [itt](#) található.

Hogyan fejti ki hatását a Dazluma?

A Dazluma hatóanyaga, a troriluzol-hidroklorid-monohidrát, a riluzol előanyaga. Ez azt jelenti, hogy a szervezetben aktív riluzollá alakul át.

A glutamát, azaz az idegsejtek más sejtekkel való kommunikációját lehetővé tevő kémiai anyag magas szintje fokozza a kisagyban lévő receptorok (fehérjék) stimulációját. Ez növelheti a kalciumszintet az idegsejtekben, ami az idegsejtek pusztulását okozhatja. Úgy vélik, hogy a troriluzol hatásmechanizmusa a spinocellaris ataxiában csökkenti a glutamát szintjét az idegsejtek közötti kapcsolódásokban. Ez megváltoztathatja az idegsejtekben fennálló hiperexcitabilitást (az idegsejtek túlzott érzékenysége) a kisagyban, ami segíti az egyensúly és a koordináció szabályozását.

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



Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat egy fő vizsgálat adatait nyújtotta be, amelyben 218, a spinocelbelaris ataxia különböző formáiban, köztük SCA3-ban szenvedő felnőtt vett részt és a Dazluma-t placebóval (hatóanyag nélküli kezelés) hasonlították össze. A hatásosság fő mutatója a tünetek súlyosságának változása volt, amelyet 48 hetes kezelést követően az ataxia értékelésére és minősítésére szolgáló funkcionális skála (f-SARA) segítségével mérnek. Az f-SARA azt méri, hogy az adott személy képes-e olyan feladatokat végezni, amelyek igazolják, hogy mennyire tudja kontrollálni a mozgását és fenntartani az egyensúlyát. A pontszámok 0-tól 16-ig terjednek, és a magasabb pontszámok súlyosabb ataxiát jeleznek. Az értékelés során a vállalat a spinocellaris ataxiában szenvedő betegektől származó, valós körülmények között gyűjtött adatokat is bemutatott, amelyekben összehasonlították a betegség progresszióját a Dazluma-val kezelt betegeknél, illetve azoknál, akik nem részesültek kezelésben.

A visszavonás előtt meddig jutott el a kérelem az elbírálási folyamatban?

A vállalat visszavonta a kérelmet, miután az Európai Gyógyszerügynökség értékelte a vállalattól származó információkat és kérdéseket készített a vállalat számára. Miután az Ügynökség értékelte a vállalatnak az utolsó kérdéssorra adott válaszait, még mindig maradt néhány megoldatlan probléma.

Mit tartalmazott az Ügynökség ajánlása az adott időpontban?

A visszavonás időpontjában az adatok és a vállalat által az Ügynökség listáján szereplő kérdésekre adott válaszok áttekintése alapján az Ügynökség részéről néhány aggály merült fel, és az volt az ideiglenes véleménye, hogy a Dazluma alkalmazása nem engedélyezhető a spinocerebellaris ataxia kezelésére.

Mivel a fő vizsgálat eredményei nem igazolták, hogy a Dazluma a spinocerebellaris ataxia kezelésében hatékonyabb lenne a placebónál, az Ügynökség úgy vélte, hogy abból nem lehet következtetéseket levonni. A vállalat a Dazluma hatásosságát kezeletlen betegektől származó, valós körülmények között szerzett adatokkal is összehasonlította. Az Ügynökség azonban úgy ítélte meg, hogy ennek az összehasonlításnak az eredményei nem voltak érvényesek, mivel a vállalat által az elemzésükhöz figyelembe vett tényezőkön túl további tényezők befolyásolhatták a betegség előrehaladásának a Dazluma-val kezelt betegek és a nem kezelt betegek közötti különbségét. Ezért a visszavonás időpontjában az Ügynökség véleménye az volt, hogy a Dazluma hatásossága a spinocerebellaris ataxia kezelésében nem bizonyított.

A vállalat kérelmezte, hogy a Dazluma-t új hatóanyagként ismerjék el, mivel hatóanyagának hatékonysága és biztonságossága jelentősen eltér egy, az Európai Unióban (EU) már engedélyezett gyógyszer hatékonyságától és biztonságosságától. Az Ügynökség úgy ítélte meg, hogy a vállalat nem bizonyította, hogy a tririluzol-hidroklorid-monohidrát hatékonysága vagy biztonságossága jelentősen eltér annak aktív formája, az EU-ban gyógyszerként már engedélyezett riluzol hatékonyságától. Ezért az Ügynökség az akkor benyújtott információk alapján nem tudta azt a következtetést levonni, hogy a tririluzol-hidroklorid-monohidrát új hatóanyag.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő [levelében](#) a vállalat azt nyilatkozta, hogy további adatokat kíván gyűjteni a troriluzol-hidroklorid-monohidrát új hatóanyag státuszának alátámasztására, és új kérelmet tervez benyújtani, amint ezek az adatok rendelkezésre állnak.

Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vesznek klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti kezelési programokban?

A vállalat tájékoztatta az Ügynökséget, hogy a visszavonásnak a Dazluma-val végzett klinikai vizsgálatokban jelenleg részt vevő betegekre nézve nincsenek következményei. A vállalat engedélyezés előtti kezelési programokat indít.

Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vesz részt, és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával.