



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2023. október 13.
EMA/500747/2023
EMA/H/C/005901

Az Albrioza-ra (nátrium-fenilbutirát/urzodoxikolaurin) vonatkozó forgalombahozatali engedély elutasítása

A felülvizsgálat megerősíti az elutasítást

Az Európai Gyógyszerügynökség eredeti véleményének felülvizsgálatát követően megerősítette az Albrioza-ra vonatkozó forgalombahozatali engedély elutasítására vonatkozó ajánlását. A gyógyszert az amiotrófiás laterálszklerózis kezelésére szánták.

Az Ügynökség 2023. október 12-én adta ki a felülvizsgálatot követő véleményét. Az Ügynökség az eredeti véleményét 2023. június 22-én adta ki. Az Albrioza engedélyezését kérelmező vállalat az Amylyx Pharmaceuticals EMEA B.V.

Milyen típusú gyógyszer az Albrioza és milyen alkalmazásra szánták?

Az Albrioza-t az amiotrófiás laterálszklerózisban (ALS) szenvedő felnőttek kezelésére szánt gyógyszerként fejlesztették ki. Az ALS az idegrendszer egyre súlyosbodó betegsége, amelyben az agy és a gerincvelő akaratlagos mozgásért felelős idegsejtjei fokozatosan elpusztulnak, ami az izomfunkció elvesztéséhez és bénuláshoz vezet. A gyógyszer két hatóanyagot, nátrium-fenilbutirátot és urzodoxikolaurint tartalmaz, és por formájában kívánták forgalomba hozni, amelyet vízben feloldva, szájon át kellett volna alkalmazni.

Az Albrioza-t 2020. június 4-én az ALS kezelése tekintetében „ritka betegség elleni gyógyszerré” minősítették. A ritka betegség elleni gyógyszerré minősítésről további információ az Ügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2284.

Hogyan fejti ki hatását az Albrioza?

Nem teljesen világos, hogy az Albrioza hogyan fejti ki hatását, de a két hatóanyag, a nátrium-fenilbutirát és az urzodoxikolaurin várhatóan csökkenti az idegsejtek károsodását és megakadályozza azok elpusztulását. Ettől azt várták, hogy segít fenntartani a normális izomfunkciót, és lelassítja a betegség súlyosbodását.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat egy fő vizsgálat eredményeit nyújtotta be, amelyben 137, ALS-ben szenvedő beteg vett részt, akik a standard kezelés kiegészítéseként 24 héten át Albrioza-t vagy placebót (hatóanyag nélküli

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



kezelést) kaptak. A hatásosság fő mutatója az volt, hogy a vizsgálat ideje alatt milyen mértékben súlyosbodtak a betegek tünetei, mint például a beszéd, a légzés, az étkezés és az egyéb szokásos napi tevékenységek végzésének nehézsége. Ennek értékelése az „ALS módosított funkcionális mérőskála” (ALS functional rating scale revised – ALSFRS-R) néven ismert standard értékelőskála alkalmazásával történt. A vállalat a teljes túlélési időre vonatkozó eredményeket is benyújtott.

Melyek voltak a forgalombahozatali engedély elutasításának fő okai?

Az eredeti, 2023. júniusi vélemény kiadásának időpontjában az Ügynökségnek aggályai voltak abban a tekintetben, hogy a fő vizsgálat nem igazolta meggyőzően az Albrioza hatásosságát a betegség súlyosbodásának lassításában. A túléléssel kapcsolatos adatok sem voltak megbízhatóak az adatok gyűjtésének és elemzésének módja miatt. Az Ügynökség ezért azon a véleményen volt, hogy az Albrioza pozitív előny-kockázat profilja nem állapítható meg. Az Ügynökség ezért a forgalombahozatali engedély elutasítását javasolta. Ezen ajánlás megfogalmazásakor az Ügynökség figyelembe vette a szakértői csoportok tanácsait is, beleértve a betegek képviselőit és a neurológiai szakértőket is.

A felülvizsgálat során az Ügynökség értékelte a vállalat által az aggályaira adott válaszokat, és konzultációt folytatott egy neurológiai szakértői csoporttal. A felülvizsgálatot követően az Ügynökség aggályai még mindig fennálltak, ezért az eredeti elutasítást megerősítették.

Az Ügynökség figyelembe vette továbbá több harmadik fél, köztük ALS betegszervezetek, ALS-betegek szószólói és egy nemzeti neurológiai szövetség észrevételeit is.

Milyen következményekkel jár az elutasítás azokra a betegekre nézve, akik részt vesznek klinikai vizsgálatokban?

A vállalat tájékoztatta az Ügynökséget, hogy az elutasításnak az Albrioza-val végzett klinikai vizsgálatokban jelenleg részt vevő betegekre nézve nincsenek következményei. Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vesz részt, és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával.