



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2025 m. balandžio 25 d.
EMA/128274/2025
EMA/H/C/006068

Paraiškos gauti Dazluma (troriluzolio hidrochlorido monohidrato) registracijos pažymėjimą atsiėmimas

Bendrovė „Biohaven Bioscience Ireland Limited“ atsiėmė savo paraišką gauti Dazluma, skirtą 3 genotipo spinocerebelinės ataksijos (SCA3), paveldimo galvos smegenų sutrikimo, kuris veikia koordinaciją ir pusiausvyrą, gydymui, registracijos pažymėjimą.

Bendrovė paraišką atsiėmė 2025 m. kovo 24 d.

Kas yra Dazluma ir kokiais atvejais buvo numatyta jį vartoti?

Dazluma kuriamas kaip vaistas, skirtas suaugusiems gydyti SCA3. Vertinimo procedūros metu bendrovė pateikė paraišką išplėsti indikaciją į ją įtraukiant visas spinocerebelinės ataksijos formas. Sergant spinocerebeline ataksija, smegenėlių (judėjimą ir pusiausvyrą valdančios galvos smegenų dalies) nervinės ląstelės pažeidžiamos ir žūsta. Dėl to atsiranda progresuojančių koordinacijos, kalbos, ėjimo ir pusiausvyros sutrikimų.

Dazluma sudėtyje yra veikliosios medžiagos troriluzolio hidrochlorido monohidrato ir jį buvo numatyta tiekti per burną vartojamų kapsulių forma.

2021 m. gruodžio 10 d. Dazluma buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai pagal spinocerebelinės ataksijos gydymo indikaciją. Daugiau informacijos apie vaistų priskyrimą retųjų vaistų kategorijai rasite [Agentūros tinklalapyje](#).

Kaip veikia Dazluma?

Veiklioji Dazluma medžiaga troriluzolio hidrochlorido monohidratas yra riluzolo provaistas. Tai reiškia, kad žmogaus organizme jis virsta aktyvios formos riluzolu.

Padidėjęs glutamato – cheminės medžiagos, dėl kurios nervinės ląstelės gali perduoti informaciją kitoms ląstelėms – kiekis skatina receptorių (baltymų) stimuliaciją smegenėlėse. Dėl to nervinėse ląstelėse gali padidėti kalcio kiekis, dėl kurio jos gali žūti. Manoma, kad gydant spinocerebelinę ataksiją riluzolas veikia taip, kad mažintų glutamato koncentraciją nervinių ląstelių jungtyse. Dėl to gali pasikeisti nervinių ląstelių padidintas jautrumas (kai nervinės ląstelės tampa pernelyg jautrios) smegenėlėse, o tai padeda kontroliuoti pusiausvyrą ir koordinaciją.

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



Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Bendrovė pateikė pagrindinio tyrimo, kuriame dalyvavo 218 įvairių formų spinocerebeline ataksija sergančių suaugusiųjų, įskaitant SCA3, duomenis; atliekant šį tyrimą, Dazluma buvo lyginamas su placebo (preparatu be veikliosios medžiagos). Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo simptomų sunkumo pokytis, vertinamas pagal funkcinę ataksijos vertinimo skalę (f-SARA) po 48 gydymo savaitių. Pagal f-SARA vertinamas asmens gebėjimas atlikti užduotis, rodančias, kaip gerai jis gali kontroliuoti savo judėjimą ir išlaikyti pusiausvyrą. Balai svyruoja nuo 0 iki 16, o aukštesni balai rodo sunkesnę ataksiją. Vertinimo metu bendrovė taip pat pateikė realius pacientų, sergančių spinocerebeline ataksija, duomenis, kuriuose buvo lyginama, kaip liga progresavo Dazuma gydytų pacientų ir pacientų, kuriems nebuvo taikomas joks gydymas, grupėje.

Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?

Bendrovė atsiėmė paraišką, kai Europos vaistų agentūra jau buvo įvertinusi bendrovės pateiktą informaciją ir parengusi bendrovei skirtus klausimus. Agentūrai įvertinus bendrovės atsakymus į paskutinį kartą pateiktus klausimus, vis dar buvo likę neišspręstų klausimų.

Kokia tuo metu buvo Agentūros rekomendacija?

Remdamasi peržiūretais duomenimis ir bendrovės atsakymais į Agentūros parengtus klausimus, paraiškos atsiėmimo metu Agentūra dar turėjo abejonių ir buvo priėmusi negalutinę nuomonę, kad Dazluma negali būti registruotas spinocerebelinės ataksijos gydymui.

Kadangi pagrindinio tyrimo rezultatai neparodė, kad Dazluma yra veiksmingesnis už placebo gydant spinocerebelinę ataksiją, Agentūra laikėsi nuomonės, kad tyrimo duomenys nepakankami išvadoms daryti. Bendrovė taip pat palygino Dazluma veiksmingumą su realiais negydytų pacientų duomenimis. Tačiau Agentūra laikėsi nuomonės, kad šio palyginimo rezultatai yra netinkami, nes papildomi veiksniai, be tų, į kuriuos bendrovė atsižvelgė atlikdama savo analizę, galėjo turėti įtakos Dazluma gydytų ir negydytų pacientų ligos progresavimo skirtumui. Todėl paraiškos atsiėmimo metu Agentūra laikėsi nuomonės, kad Dazluma veiksmingumas gydant spinocerebelinę ataksiją neįrodytas.

Bendrovė pateikė paraišką dėl Dazluma priskyrimo prie naujos veikliosios medžiagos, remdamasi tuo, kad jos veikliosios medžiagos veiksmingumas ir saugumas labai skiriasi nuo vaisto, kuris jau registruotas Europos Sąjungoje (ES), veiksmingumo ir saugumo. Agentūra laikėsi nuomonės, kad bendrovė neįrodė, jog troriluzolio hidrochlorido monohidrato veiksmingumas ir saugumas gerokai skiriasi nuo veikliosios formos riluzolo, kuris jau registruotas vartoti ES kaip vaistas. Todėl Agentūra, remdamasi tuo metu pateikta informacija, negalėjo padaryti išvados, kad troriluzolio hidrochloridas monohidratas yra nauja veiklioji medžiaga.

Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?

[Laiške](#), kuriuo Agentūrai pranešta apie paraiškos atsiėmimą, bendrovė nurodė, kad planuoja surinkti papildomų duomenų, pagrindžiančių troriluzolio hidrochlorido monohidrato naujos veikliosios medžiagos statusą, ir planuoja pateikti naują paraišką, kai tik šie duomenys bus gauti.

Ar šios paraiškos atsiėmimas turės įtakos pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose?

Bendrovė pranešė Agentūrai, kad šios paraiškos atsiėmimas neturės jokių pasekmių pacientams, dalyvaujantiems Dazluma klinikiniuose tyrimuose. Bendrovė pradeda įgyvendinti labdaringo vartojimo programas.

Jei dalyvaujate klinikiniam tyrimui ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie Jums taikomą gydymą, pasitarkite su klinikinio tyrimo gydytoju.