



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2023 m. spalio 13 d.
EMA/500749/2023
EMA/H/C/005901

Atsisakymas išduoti Albrioza (*natrio fenilbutirato / ursodoksikoltaurino*) registracijos pažymėjimą

Po pakartotinio nagrinėjimo patvirtinta nepalanki nuomonė

Pakartotinai išnagrinėjusi savo pirminę nuomonę, Europos vaistų agentūra patvirtino rekomendaciją neišduoti vaistinio preparato Albrioza registracijos pažymėjimo. Šiuo vaistu buvo numatyta gydyti šoninę amiotrofinę sklerozę.

Agentūra paskelbė savo nuomonę po pakartotinio nagrinėjimo procedūros 2023 m. spalio 12 d. Savo pirminę nuomonę agentūra buvo paskelbusi 2023 m. birželio 22 d. Paraišką gauti Albrioza registracijos pažymėjimą pateikė bendrovė „Amilyx Pharmaceuticals EMEA B.V“.

Kas yra Albrioza ir kokiais atvejais buvo numatyta jį vartoti?

Albrioza buvo sukurtas kaip vaistas, skirtas šonine amiotrofine skleroze (ŠAS) sergantiems suaugusiems. ŠAS yra progresuojanti nervų sistemos liga, kuria sergant galvos ir stuburo smegenų nervinės ląstelės, kontroliuojančios valingus judesius, palaipsniui degeneruoja; dėl to silpnėja raumenų funkcija ir išsivysto paralyžius. Vaisto sudėtyje yra dviejų veikliųjų medžiagų – natrio fenilbutirato ir ursodoksikoltaurino; jį buvo numatyta tiekti miltelių, kuriuos reikia ištirpinti vandenyje ir išgerti, forma.

2020 m. birželio 4 d. Albrioza buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai pagal ŠAS gydymo indikaciją. Daugiau informacijos apie vaistų priskyrimą retųjų vaistų kategorijai rasite Agentūros tinklalapyje adresu: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2284.

Kaip veikia Albrioza?

Nevisiškai aišku, kaip veikia Albrioza, bet tikėtasi, kad dvi veikliosios medžiagos, natrio fenilbutiratas ir ursodoksikoltaurinas, sumažins nervų ląstelėms daromą žalą ir neleis joms žūti. Tikėtasi, kad tai padės palaikyti normalią raumenų funkciją ir pristabdyti ligos progresavimą.

Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Bendrovė pateikė vieno pagrindinio tyrimo, kuriame dalyvavo 137 ŠAS sergantys pacientai, 24 savaites kartu su standartiniu vaistu vartoję Albrioza arba placebą (preparato be veikliosios medžiagos), rezultatus. Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo pacientams pasireiškiančių simptomų, tokių kaip

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



kalbėjimo, kvėpavimo, valgymo funkcijų sutrikimai ir atliekant kasdienes darbus patiriami sunkumai, progresavimo greitis tyrimo laikotarpiu. Tai buvo vertinama pagal standartinę vertinimo skalę, vadinamą patikslinta sergančiųjų ŠAS funkcijų vertinimo skale (angl. *ALS functional rating scale revised*, ALSFRS-R). Bendrovė taip pat pateikė rezultatus, susijusius su bendra išgyvenimo trukme.

Kokios buvo pagrindinės priežastys, dėl kurių rekomenduota neišduoti registracijos pažymėjimo?

2023 m. birželio mėn., kai buvo priimta pirminė nuomonė, agentūrai iškilo abejonių dėl to, kad, jos nuomone, pagrindiniu tyrimu nepavyko įtikinamai įrodyti, jog Albriozą yra veiksmingas siekiant pristabdyti ligos progresavimą. Duomenys apie išgyvenimo trukmę taip pat buvo nepatikimi, atsižvelgiant į tai, kaip tie duomenys buvo renkami ir analizuojami. Todėl agentūra laikėsi nuomonės, kad negalima patvirtinti, jog Albriozą naudos ir rizikos santykis yra teigiamas. Dėl šios priežasties agentūra rekomendavo neišduoti šio vaisto registracijos pažymėjimo. Rengdama šią rekomendaciją, agentūra, be kita ko, atsižvelgė į ekspertų grupių, įskaitant pacientų atstovus ir neurologijos srities ekspertus, rekomendacijas.

Pakartotinio nagrinėjimo procedūros metu agentūra įvertino bendrovės atsakymus į jos iškeltus susirūpinimą keliančius klausimus ir konsultavosi su neurologijos srities ekspertų grupe. Pakartotinai išnagrinėjus priimtą nuomonę, agentūros abejonės nebuvo išsklaidytos, todėl buvo patvirtinta pirminė rekomendacija neišduoti registracijos pažymėjimo.

Agentūra taip pat atsižvelgė į kelias trečiųjų šalių atstovų iš ŠAS sergančių pacientų asociacijų, sergančiųjų ŠAS teisių gynėjų ir nacionalinės neurologų asociacijos išreikštas nuomones.

Ar šis atsisakymas turės įtakos pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose?

Bendrovė pranešė agentūrai, kad paraiškos atsiėmimas neturės jokių pasekmių pacientams, šiuo metu dalyvaujantiems Albriozą klinikiniuose tyrimuose. Jei dalyvaujate klinikiniame tyrime ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie Jums taikomą gydymą, pasikalbėkite su savo klinikinio tyrimo gydytoju.