



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2023. gada 13. oktobris
EMA/500750/2023
EMA/H/C/005901

Albrioza (*nātrija fenilbutirāts/ursodoksikoltaurīns*) reģistrācijas apliecības atteikums

Atteikums apstiprināts pēc atkārtotas pārskatīšanas

Pēc sākotnējā atzinuma atkārtotas pārskatīšanas Eiropas Zāļu aģentūra ir apstiprinājusi savu ieteikumu atteikt reģistrācijas apliecības izsniegšanu zālēm *Albrioza*. Šīs zāles bija paredzētas amiotrofiskās laterālās sklerozes ārstēšanai.

Aģentūra izdeva atzinumu pēc atkārtotas pārskatīšanas 2023. gada 12. oktobrī. Sākotnējo atzinumu aģentūra izdeva 2023. gada 22. jūnijā. Uzņēmums, kas iesniedza *Albrioza* reģistrācijas pieteikumu, ir *Amylyx Pharmaceuticals EMEA B.V.*.

Kas ir *Albrioza* un kam tās bija paredzētas?

Albrioza tika izstrādāta kā zāles pieaugušajiem ar amiotrofisko laterālo sklerozi (ALS). ALS ir nervu sistēmas slimība, kuras gadījumā pakāpeniski novājinās galvas un muguras smadzeņu nervu šūnas, kas kontrolē apzinātās kustības, un tādējādi izraisa muskuļu darbības zudumu un paralīzi. Šīs zāles satur divas aktīvās vielas — nātrija fenilbutirātu un ursodoksikoltaurīnu, un bija paredzēts, ka tās būs pieejamas kā pulveris, ko izšķīdina ūdenī un lieto iekšķīgi.

2020. gada 4. jūnijā *Albrioza* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss ALS ārstēšanai. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama Eiropas Zāļu aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2284.

Kā *Albrioza* darbojas?

Nav pilnībā skaidrs, kā *Albrioza* darbojas, taču bija paredzēts, ka abas aktīvās vielas – nātrija fenilbutirāts un ursodoksikoltaurīns – samazinās nervu šūnu bojājumus un novērsīs to bojāeju. Bija paredzēts, ka tas palīdzēs uzturēt normālu muskuļu darbību un palēnināt slimības progresēšanu.

Kādus dokumentus uzņēmums iesniedza pieteikuma pamatošanai?

Uzņēmums iesniedza rezultātus no viena pamatpētījuma, kurā piedalījās 137 pacienti ar ALS, kuri papildus standarta ārstēšanai 24 nedēļu laikā saņēma vai nu *Albrioza*, vai placebo (fiktīvu ārstēšanu). Galvenais iedarbīguma rādītājs bija rādītājs, kādā pētījuma laikā pasliktinājās pacientu simptomi,

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



piemēram, grūtības runāt, elpot, ēst un veikt citas normālas ikdienas darbības. To novērtēja, izmantojot standarta vērtēšanas skalu, ko dēvē par "pārskatīto ALS funkcionālo vērtēšanas skalu" (*ALSFRS-R*). Uzņēmums iesniedza arī rezultātus par kopējo dzīvildzes laiku.

Kādi bija galvenie iemesli reģistrācijas apliecības atteikumam?

Sākotnējā atzinuma sniegšanas laikā 2023. gada jūnijā aģentūrai bija bažas par to, ka pamatpētījums pārliecinoši nepierādīja, ka *Albrioza* efektīvi palēnina slimības saasināšanos. Arī dati par dzīvildzi nebija uzticami, ņemot vērā veidu, kādā dati tika apkopoti un analizēti. Tāpēc aģentūra atzina, ka nevar noteikt pozitīvu *Albrioza* ieguvumu un riska līdzsvaru. Tāpēc aģentūra ieteica neizsniegt zāļu reģistrācijas apliecību. Sniedzot šo ieteikumu, aģentūra ņēma vērā arī ekspertu grupu, tostarp pacientu pārstāvju un neiroloģijas ekspertu, ieteikumus.

Atkārtotās izskatīšanas laikā aģentūra novērtēja uzņēmuma atbildes uz bažām un apspriedās ar ekspertu grupu neiroloģijas jomā. Pēc atkārtotas izvērtēšanas aģentūras bažas netika novērstas, un tāpēc sākotnējais atteikums tika apstiprināts.

Aģentūra ņēma vērā arī vairākus trešo personu atzinumus no ALS pacientu apvienībām, ALS advokātiem un nacionālās neiroloģijas asociācijas.

Vai šis atteikums ietekmē pacientus, kuri piedalās klīniskajos pētījumos?

Uzņēmums informēja aģentūru, ka pacientus, kas pašlaik piedalās *Albrioza* klīniskajos pētījumos, tas neietekmēs. Ja jūs pašreiz piedalāties klīniskā pētījumā un vēlaties saņemt plašāku informāciju par ārstēšanu, konsultējieties ar savu klīniskā pētījuma ārstu.