



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13 ta' Ottubru 2023  
EMA/500751/2023  
EMA/H/C/005901

## Rifjut tal-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq għal Albrioza (*sodium phenylbutyrate/ursodoxicoltaurine*)

Eżaminazzjoni mill-ġdid tikkonferma r-rifjut

Wara li eżaminat mill-ġdid l-opinjoni inizjali tagħha, l-Aġenzija Ewropea għall-Medicini kkonfermat ir-rakkomandazzjoni tagħha li tirrifjuta l-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq għall-medicina Albrioza. Il-medicina kienet maħsuba għall-kura ta' sklerozi laterali amijotrofika.

L-Aġenzija ħarġet l-opinjoni tagħha wara eżaminazzjoni mill-ġdid fit-12 ta' Ottubru 2023. L-Aġenzija kienet ħarġet l-opinjoni inizjali tagħha fit-22 ta' Ġunju 2023. Il-kumpanija li applikat għall-awtorizzazzjoni ta' Albrioza hija Amyyx Pharmaceuticals EMEA B.V.

### **X'inhu Albrioza u għal xiex kien mistenni li jintuża?**

Albrioza ġie żviluppat bħala medicina għall-adulti bi sklerozi laterali amijotrofika (ALS). L-ALS hija marda progressiva tas-sistema nervuża, fejn iċ-ċelloli tan-nervituri fil-moħħ u fil-korda spinali li jikkontrollaw il-moviment volontarju jiddeterjoraw gradwalment, u jikkawżaw telfien tal-funzjoni tal-muskoli u paralizi. Il-medicina fiha żewġ sustanzi attivi, sodium phenylbutyrate u ursodoxicoltaurine, u kellha tiġi bħala trab li jinħall fl-ilma u li jittiehed mill-ħalq.

Albrioza ġie kklassifikat bħala "medicina orfni" (medicina li tintuża f'mard rari) fl-4 ta' Ġunju 2020 għall-kura tal-ALS. Aktar tagħrif dwar il-klassifikazzjoni orfni jista' jinstab fuq is-sit web tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2284](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2284).

### **Kif jaħdem Albrioza?**

Mhuwiex ċar għalkollox kif jaħdem Albrioza, iżda ż-żewġ sustanzi attivi, is-sodium phenylbutyrate u l-ursodoxicoltaurine, kienu mistennija jnaqqsu l-ħsara liċ-ċelloli tan-nervituri u jzommuhom milli jmutu. Dan kien mistenni li jgħin biex tinżamm il-funzjoni normali tal-muskoli u jnaqqas ir-ritmu tal-aggravar tal-marda.

### **X'dokumentazzjoni pprezentat il-kumpanija biex tappoġġja l-applikazzjoni tagħha?**

Il-kumpanija pprovdiet riżultati minn studju ewlieni wiehed li involva 137 pazjent b'ALS li rċewew jew Albrioza jew placebo (kura finta) flimkien mal-kura standard tagħhom fuq perjodu ta' 24 ġimgħa. Il-

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



kejl ewlieni tal-effikaċja kien ir-rata li biha s-sintomi tal-pazjenti, b'hal diffikultà biex jitkellmu, jieħdu n-nifs, jieklu u jwettqu attivitajiet normali oħrajn ta' kuljum, marru għall-agħar matul l-istudju. Dan ġie vvalutat bl-użu ta' skala ta' klassifikazzjoni standard magħrufa b'hal "skala ta' klassifikazzjoni funzjonali tal-ALS riveduta" (ALSFRS-R). Il-kumpanija pprovdiet ukoll riżultati dwar iż-żmien ta' sopravivenza globali.

## **X'kienu r-raġunijiet ewlenin għar-rifjut tal-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq?**

Fiż-żmien tal-opinjoni inizjali f'Ġunju 2023, l-Aġenzija kellha tħassib li l-istudju ewlieni ma weriex b'mod konvinċenti li Albriozza kien effettiv biex inaqqas ir-ritmu tal-aggravar tal-marda. Id-*data* dwar is-sopravivenza lanqas ma kienet affidabbli, minħabba l-mod kif id-*data* ngabret u ġiet analizzata. Għalhekk, l-opinjoni tal-Aġenzija kienet li ma setax jiġi stabbilit bilanċ pożittiv tal-benefiċċji u r-riskji ta' Albriozza. Għalhekk, l-Aġenzija rrakkomandat ir-rifjut tal-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq. Fl-għoti ta' din ir-rakkomandazzjoni, l-Aġenzija kkunsidrat ukoll parir minn gruppi ta' esperti, inklużi rappreżentanti tal-pazjenti u esperti fin-newroloġija.

Matul l-eżaminazzjoni mill-ġdid, l-Aġenzija vvalutat it-tweġibiet tal-kumpanija għat-tħassib tagħha u kkonsultat grupp ta' esperti fin-newroloġija. Wara l-eżaminazzjoni mill-ġdid, it-tħassib tal-Aġenzija ma ġiex solvut u għalhekk ir-rifjut inizjali ġie kkonfermat.

L-Aġenzija qieset ukoll diversi interventi ta' partijiet terzi mill-assocjazzjonijiet tal-pazjenti tal-ALS, l-avukati tal-pazjenti tal-ALS u assocjazzjoni nazzjonali tan-newroloġija.

## **Dan ir-rifjut jaffettwa lill-pazjenti fi provi kliniċi?**

Il-kumpanija infurmat lill-Aġenzija li ma hemm l-ebda konsegwenza għall-pazjenti li b'halissa huma inklużi fi provi kliniċi b'Albriozza. Jekk inti qed tieħu sehem fi prova klinika u teħtieġ aktar informazzjoni dwar il-kura tiegħek, tkellem mat-tabib tal-prova klinika tiegħek.