



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13 oktober 2023
EMA/500752/2023
EMA/H/C/005901

Weigering van de vergunning voor het in de handel brengen van Albrioza (*natriumfenylbutyraat/ursodoxicoltaurine*) Heronderzoek bevestigt weigering

Na heronderzoek van het oorspronkelijke advies heeft het Europees Geneesmiddelenbureau zijn aanbeveling om de vergunning voor het in de handel brengen van het geneesmiddel Albrioza te weigeren, bevestigd. Het geneesmiddel was bedoeld voor de behandeling van amyotrofe laterale sclerose.

Het Geneesmiddelenbureau heeft zijn advies na heronderzoek op 12 oktober 2023 uitgebracht. Het had zijn oorspronkelijke advies uitgebracht op 22 juni 2023. Het bedrijf dat de aanvraag voor een vergunning voor het in de handel brengen van Albrioza had ingediend, is Amylyx Pharmaceuticals EMEA B.V.

Wat is Albrioza en voor welke behandeling was het bedoeld?

Albrioza werd ontwikkeld als geneesmiddel voor volwassenen met amyotrofe laterale sclerose (ALS). ALS is een progressieve ziekte van het zenuwstelsel, waarbij zenuwcellen in de hersenen en het ruggenmerg die de willekeurige bewegingen besturen, geleidelijk verslechteren, met verlies van de spierfunctie en verlamming als gevolg. Het geneesmiddel bevat twee werkzame stoffen, natriumfenylbutyraat en ursodoxicoltaurine, en zou verkrijgbaar zijn in de vorm van een poeder voor oplossing in water en inname via de mond.

Albrioza werd op 4 juni 2020 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame ziekten) voor de behandeling van ALS. Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u op de website van het Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2284.

Hoe werkt Albrioza?

Het is niet helemaal duidelijk hoe Albrioza werkt, maar verwacht werd dat de twee werkzame stoffen, natriumfenylbutyraat en ursodoxicoltaurine, de schade aan de zenuwcellen zouden verminderen en zouden voorkomen dat de zenuwcellen afsterven. Verwacht werd dat dit zou helpen om de normale spierfunctie te behouden en de verergering van de ziekte te vertragen.

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



Welke documentatie heeft het bedrijf ingediend ter onderbouwing van de aanvraag?

Het bedrijf verstrekte resultaten van één hoofdstudie onder 137 patiënten met ALS die gedurende 24 weken naast hun standaardbehandeling Albriozza of placebo (een schijnbehandeling) kregen. De voornaamste graadmeter voor de werkzaamheid was de mate waarin de symptomen van de patiënten, zoals moeite met praten, ademen, eten en het verrichten van andere normale dagelijkse handelingen, verslechterden tijdens het onderzoek. Dit werd beoordeeld aan de hand van de standaardbeoordelingsschaal 'ALS Functional Rating Scale – Revised' (ALSFRS-R). Het bedrijf verstrekte ook resultaten over de totale overlevingstijd.

Wat waren de voornaamste redenen om de handelsvergunning te weigeren?

Ten tijde van het oorspronkelijke advies in juni 2023 had het Geneesmiddelenbureau bedenkingen over het feit dat de hoofdstudie niet overtuigend aantoonde dat Albriozza werkzaam was bij het vertragen van de verergering van de ziekte. Daarnaast waren de gegevens over overleving niet betrouwbaar, gezien de manier waarop die gegevens werden verzameld en geanalyseerd. Daarom was het Geneesmiddelenbureau van mening dat geen gunstige baten-risicoverhouding voor Albriozza kon worden vastgesteld. Het Geneesmiddelenbureau adviseerde daarom de handelsvergunning te weigeren. Bij het doen van deze aanbeveling heeft het Geneesmiddelenbureau ook het advies van groepen van deskundigen, waaronder vertegenwoordigers van patiënten en deskundigen op het gebied van neurologie, in overweging genomen.

Tijdens het heronderzoek beoordeelde het Geneesmiddelenbureau de antwoorden van het bedrijf naar aanleiding van de bedenkingen en raadpleegde het een groep van deskundigen op het gebied van neurologie. Na dit heronderzoek waren de bedenkingen van het Geneesmiddelenbureau niet weggenomen en werd de oorspronkelijke weigering dan ook bevestigd.

Het Geneesmiddelenbureau hield ook rekening met verschillende interventies van derden zoals ALS-patiëntenverenigingen, pleitbezorgers voor ALS en een nationale vereniging voor neurologie.

Heeft deze weigering gevolgen voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven?

Het bedrijf deelde het Geneesmiddelenbureau mee dat er geen gevolgen zijn voor patiënten die momenteel deelnemen aan klinische proeven met Albriozza. Indien u deelneemt aan een klinische proef en meer informatie wenst over uw behandeling, neem dan contact op met uw onderzoeksarts.