



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13 października 2023 r.
EMA/500754/2023
EMA/H/C/005901

Odmowa wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu dla produktu Albrioza (*fenylomaślan sodu/ursodoksykoltauryna*)

Potwierdzenie decyzji odmownej po ponownym rozpatrzeniu opinii

Po ponownym rozpatrzeniu pierwszej opinii Europejska Agencja Leków potwierdziła swoje zalecenie odmowy przyznania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu dla produktu Albrioza. Lek miał być stosowany w leczeniu stwardnienia zanikowego bocznego.

Agencja wydała opinię po przeprowadzeniu ponownej oceny w dniu 12 października 2023 r. Pierwsza opinia Agencji została wydana 22 czerwca 2023 r. Firmą ubiegającą się o pozwolenie na dopuszczenie produktu Albrioza do obrotu jest Amylyx Pharmaceuticals EMEA B.V.

Co to jest Albrioza i w jakim celu miał być stosowany?

Produkt Albrioza opracowano jako lek przeznaczony dla osób dorosłych ze stwardnieniem zanikowym bocznym (ang. *amyotrophic lateral sclerosis*, ALS). ALS jest postępującą chorobą układu nerwowego, w której komórki nerwowe w mózgu i rdzeniu kręgowym kontrolujące dobrowolne ruchy mięśni ulegają stopniowemu uszkodzeniu, co prowadzi do utraty czynności i porażenia mięśni. Produkt zawiera dwie substancje czynne, fenylomaślan sodu oraz ursodoksykoltaurynę, i miał być dostępny w postaci proszku do rozpuszczania w wodzie przyjmowanego doustnie.

W dniu 4 czerwca 2020 r. lek Albrioza uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w leczeniu ALS. Więcej informacji na temat uznania za lek sierocy można znaleźć na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2284.

Jak działa produkt Albrioza

Działanie produktu Albrioza nie jest do końca jasne, ale oczekiwano, że dwie substancje czynne, fenylomaślan sodu i ursodoksykoltauryna, zmniejszą uszkodzenie komórek nerwowych i zapobiegą ich obumieraniu. Spodziewano się, że pomoże to zachować prawidłową czynność mięśni i spowolni tempo postępowania zmian chorobowych.



Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?

Firma dostarczyła wyniki jednego badania głównego prowadzonego z udziałem 137 pacjentów z ALS, którzy otrzymywali lek Albrioza lub placebo (leczenie pozorowane) jako uzupełnienie standardowego schematu leczenia przez 24 tygodnie. Głównym miernikiem skuteczności była szybkość pogarszania się w trakcie badania objawów choroby, takich jak problemy z mówieniem, oddychaniem, jedzeniem i wykonywaniem innych zwykłych codziennych czynności. Oceniano to przy użyciu standardowej skali oceny znanej jako „Poprawiona skala oceny czynnościowej w ALS” (ang. *ALS functional rating scale revised*, ALSFRS-R). Firma dostarczyła również wyniki dotyczące całkowitego czasu przeżycia.

Jakie były główne powody odmowy wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu?

W momencie wydania pierwszej opinii w czerwcu 2023 r. Agencja wyraziła obawy, że w badaniu głównym nie wykazano w sposób przekonujący, że produkt Albrioza skutecznie hamuje tempo pogarszania się zmian chorobowych. Dane dotyczące czasu przeżycia także nie były wiarygodne, biorąc pod uwagę sposób, w jaki dane te były zbierane i analizowane. Dlatego Agencja wyraziła opinię, że nie można ustalić pozytywnego stosunku korzyści do ryzyka związanego ze stosowaniem produktu Albrioza. Agencja zaleciła zatem odmowę przyznania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu. Wydając to zalecenie, Agencja wzięła również pod uwagę opinię grup ekspertów, w tym przedstawicieli pacjentów i specjalistów w dziedzinie neurologii.

W trakcie procedury ponownego rozpatrywania opinii Agencja oceniła odpowiedzi firmy na wątpliwości Agencji i skonsultowała się z grupą specjalistów w dziedzinie neurologii. Po ponownym rozpatrzeniu opinii wątpliwości Agencji nie zostały rozstrzygnięte i w związku z tym pierwsza odmowa została potwierdzona.

Agencja wzięła również pod uwagę interwencje kilku podmiotów zewnętrznych, takich jak stowarzyszenia pacjentów z ALS, rzecznicy pacjentów z ALS i krajowe towarzystwo neurologiczne.

Czy ta odmowa ma wpływ na pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych?

Firma powiadomiła Agencję, że nie ma żadnych skutków dla pacjentów obecnie biorących udział w badaniach klinicznych z zastosowaniem produktu Albrioza. W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych i potrzeby uzyskania dokładniejszych informacji o leczeniu należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym badanie kliniczne.