

13 de outubro de 2023
EMA/500755/2023
EMEA/H/C/005901

Recusa da Autorização de Introdução no Mercado para Albrioza (*fenilbutirato de sódio/ursodoxicoltaurina*)

Reexame confirma recusa

Tendo reexaminado o seu parecer inicial, a Agência Europeia de Medicamentos confirmou a sua recomendação de recusa da autorização de introdução no mercado para o medicamento Albrioza. O medicamento destinava-se ao tratamento da esclerose lateral amiotrófica.

A Agência emitiu o seu parecer após o reexame em 12 de outubro de 2023. A Agência emitiu o seu parecer inicial em 22 de junho de 2023. A empresa que apresentou o pedido de Autorização de Introdução no Mercado para Albrioza é a Amylyx Pharmaceuticals EMEA B.V.

O que é o Albrioza e qual a utilização prevista?

O Albrioza foi desenvolvido como um medicamento para adultos com esclerose lateral amiotrófica (ELA). A ELA é uma doença progressiva do sistema nervoso, na qual as células nervosas do cérebro e da medula espinal que controlam o movimento voluntário se deterioram gradualmente, causando perda da função muscular e paralisia. O medicamento contém duas substâncias ativas, o fenilbutirato de sódio e a ursodoxicoltaurina, e iria ser disponibilizado sob a forma de um pó para dissolver em água e tomar por via oral.

O Albrioza foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 4 de junho de 2020 para o tratamento da ELA. Pode obter informações adicionais sobre a designação de medicamento órfão no sítio Internet da Agência: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2284.

Como funciona o Albrioza?

Os efeitos do Albrioza não são totalmente claros, mas esperava-se que as duas substâncias ativas, o fenilbutirato de sódio e a ursodoxicoltaurina, reduzissem os danos nas células nervosas e evitassem a sua morte. Esperava-se que isto ajudasse a manter a função muscular normal e desacelerasse o agravamento da doença.



Que documentação foi apresentada pela empresa a acompanhar o pedido?

A empresa apresentou os resultados de um estudo principal constituído por 137 doentes com ELA que receberam Albrioza ou um placebo (tratamento simulado), em conjunto com o tratamento padrão, ao longo de 24 semanas. O principal parâmetro de eficácia foi a taxa a que os sintomas dos doentes, como a dificuldade em falar, respirar, comer e realizar outras atividades diárias normais, se agravaram durante o estudo. Isto foi avaliado utilizando uma escala de classificação padrão conhecida como «ALS functional rating scale revised» (escala de classificação funcional da ELA revista) (ALSFRS-R). A empresa também apresentou resultados sobre o tempo de sobrevivência global.

Quais foram as principais razões para a recusa da Autorização de Introdução no Mercado?

No momento do parecer inicial, em junho de 2023, a Agência tinha preocupações de que o estudo principal não demonstrasse de forma convincente que o Albrioza era eficaz no abrandamento do agravamento da doença. Os dados sobre a sobrevivência também não eram fiáveis, dada a forma como os dados foram recolhidos e analisados. Por conseguinte, a Agência considerou que não era possível estabelecer um equilíbrio positivo entre os benefícios e os riscos do Albrioza.

Consequentemente, a Agência recomendou a recusa da autorização de introdução no mercado. Na formulação desta recomendação, a Agência também teve em consideração o aconselhamento de grupos de peritos, incluindo representantes dos doentes e peritos em neurologia.

Durante o reexame, a Agência avaliou as respostas da empresa às suas preocupações e consultou um grupo de peritos em neurologia. Após o reexame, as preocupações da Agência não foram esclarecidas e, por conseguinte, a recusa inicial foi confirmada.

A Agência também teve em consideração várias intervenções de associações de doentes com ELA, de porta-vozes da ELA e de uma associação nacional de neurologia.

Esta recusa afeta os doentes em ensaios clínicos?

A empresa informou a Agência de que não existem consequências para os doentes atualmente incluídos em ensaios clínicos com o Albrioza. Se estiver incluído num ensaio clínico e necessitar de mais informações sobre o seu tratamento, fale com o seu médico do ensaio clínico.