



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25 aprilie 2025  
EMA/128274/2025  
EMA/H/C/006068

## Retragerea cererii de autorizare de punere pe piață pentru Dazluma (clorhidrat de troriluzol monohidrat)

Biohaven Bioscience Ireland Limited și-a retras cererea de autorizare de punere pe piață pentru Dazluma, pentru tratamentul ataxiei spinocerebeloase genotip 3 (SCA3), o afecțiune cerebrală ereditară care afectează coordonarea și echilibrul.

Compania și-a retras cererea la 24 martie 2025.

### Ce este Dazluma și pentru ce ar fi trebuit să se utilizeze?

Dazluma este dezvoltat ca medicament care se utilizează la adulți pentru tratamentul SCA3. În timpul evaluării, compania a solicitat extinderea indicației pentru a cuprinde toate formele de ataxie spinocerebeloasă. În ataxia spinocerebeloasă, celulele nervoase din cerebel (partea creierului care controlează mișcarea și echilibrul) se deteriorează și mor, ceea ce duce la probleme progresive legate de coordonare, vorbire, mers și echilibru.

Dazluma conține substanța activă clorhidrat de troriluzol monohidrat și urma să fie disponibil sub formă de capsule pentru administrare orală.

Dazluma a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în boli rare) la 10 decembrie 2021 pentru tratamentul ataxiei spinocerebeloase. Informații suplimentare privind desemnarea ca medicament orfan sunt disponibile pe [site-ul agenției](#).

### Cum acționează Dazluma?

Substanța activă din Dazluma, clorhidratul de troriluzol monohidrat, este un precursor al riluzolului. Aceasta înseamnă că, în corp, medicamentul se transformă în forma sa activă, riluzol.

Concentrațiile mari de glutamat, o substanță chimică care permite celulelor nervoase să comunice cu alte celule, intensifică stimularea receptorilor (proteinelor) din cerebel. Aceasta poate mări concentrațiile de calciu din celulele nervoase, care le pot face astfel să moară. Se consideră că mecanismul de acțiune al troriluzolului în ataxia spinocerebeloasă reduce concentrațiile de glutamat la conexiunile dintre celulele nervoase, ceea ce poate modifica hiperexcitabilitatea celulelor nervoase

---

**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



(când celulele nervoase devin extrem de sensibile) din cerebel care ajută la controlul echilibrului și coordonării.

## **Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?**

Compania a prezentat date dintr-un studiu principal la care au participat 218 adulți cu diferite forme de ataxie spinocerebeloasă, inclusiv SCA3, care a comparat Dazluma cu placebo (un preparat inactiv). Principala măsură a eficacității a fost modificarea severității simptomelor, măsurată pe scara funcțională pentru evaluarea și clasificarea ataxiei (f-SARA) după 48 de săptămâni de tratament. f-SARA măsoară capacitatea unei persoane de a îndeplini sarcini care arată cât de bine își poate controla mișcările și menține echilibrul. Scorurile variază între 0 și 16, scorurile mai mari indicând o ataxie mai severă. În timpul evaluării, compania a prezentat, de asemenea, date reale obținute de la pacienți cu ataxie spinocerebeloasă, comparând modul în care boala a progresat la pacienții tratați cu Dazluma cu cel de la pacienții care nu au făcut niciun tratament.

## **În ce stadiu se afla evaluarea în momentul retragerii cererii?**

Cererea a fost retrasă de companie după ce Agenția Europeană pentru Medicamente evaluase informațiile prezentate de companie și formulase întrebări pentru companie. După evaluarea de către agenție a răspunsurilor companiei la ultima rundă de întrebări, existau încă unele probleme nerezolvate.

## **Care a fost recomandarea agenției în momentul respectiv?**

Pe baza analizării datelor și a răspunsului companiei la întrebările agenției, în momentul retragerii cererii, agenția avea unele motive de îngrijorare și a dat un aviz provizoriu potrivit căruia Dazluma nu putea fi autorizat pentru tratamentul ataxiei spinocerebeloase.

Întrucât rezultatele studiului principal nu au demonstrat că Dazluma este mai eficace decât placebo în tratamentul ataxiei spinocerebeloase, agenția a considerat că nu se pot trage concluzii pe baza lui. Compania a comparat, de asemenea, eficacitatea Dazluma cu datele reale obținute de la pacienți netratați. Agenția a considerat însă că rezultatele acestei comparații nu erau valide, deoarece diferența de progresie a bolii între pacienții tratați cu Dazluma și pacienții netratați ar fi putut fi influențată de alți factori decât cei luați în considerare de companie în vederea analizei. Prin urmare, în momentul retragerii cererii, în opinia agenției, nu fusese dovedită eficacitatea Dazluma pentru tratamentul ataxiei spinocerebeloase.

Compania solicitase desemnarea Dazluma ca substanță activă nouă, pe baza diferenței considerabile între eficacitatea și siguranța substanței sale active față de cele ale unui medicament care este deja autorizat în Uniunea Europeană (UE). Agenția a considerat că compania nu a demonstrat că eficacitatea sau siguranța clorhidratului de troriluzol monohidrat diferă semnificativ de forma sa activă, riluzol, care este deja autorizată pentru utilizarea ca medicament în UE. Prin urmare, agenția nu a putut concluziona că clorhidratul de troriluzol monohidrat este o substanță activă nouă, pe baza informațiilor prezentate în acest moment.

## **Care au fost motivele invocate de companie pentru retragerea cererii?**

În [scrisoarea](#) prin care înștiințează agenția cu privire la retragerea cererii, compania a declarat că intenționează să genereze date suplimentare în sprijinul statutului de substanță activă nouă pentru clorhidratul de troriluzol monohidrat și intenționează să depună o nouă cerere după generarea acestor date.

## **Retragerea acestei cereri afectează pacienții din studii clinice sau din programe de uz compasional?**

Compania a informat agenția că nu există consecințe pentru pacienții aflați în studii clinice cu Dazluma. Compania demarează programe de uz compasional.

Dacă participați la un studiu clinic și aveți nevoie de informații suplimentare despre tratamentul dumneavoastră, adresați-vă medicului din cadrul studiului respectiv.