



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13 octombrie 2023  
EMA/500756/2023  
EMA/H/C/005901

## Refuzul autorizației de punere pe piață pentru Albrioza (fenilbutirat de sodiu/ursodoxicoltaurină)

### Reexaminarea confirmă refuzul

După reexaminarea avizului său inițial, Agenția Europeană pentru Medicamente a confirmat recomandarea de refuz al autorizației de punere pe piață pentru medicamentul Albrioza. Medicamentul ar fi trebuit să se utilizeze pentru tratamentul sclerozei laterale amiotrofice.

Agenția a emis avizul după reexaminarea din 12 octombrie 2023. Avizul inițial fusese emis la 22 iunie 2023. Compania care a solicitat autorizația pentru Albrioza este Amylyx Pharmaceuticals EMEA B.V.

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

Albrioza a fost dezvoltat ca medicament pentru adulții cu scleroză laterală amiotrofică (SLA). SLA este o boală progresivă a sistemului nervos, în care celulele nervoase din creier și din măduva spinării care controlează mișcarea voluntară se deteriorează treptat, cauzând pierderea funcției musculare și paralizie. Medicamentul conține două substanțe active, fenilbutirat de sodiu și ursodoxicoltaurină, și urma să fie disponibil sub formă de pulbere care se dizolvă în apă și se administrează pe cale orală.

Albrioza a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 4 iunie 2020 pentru tratamentul SLA. Informații suplimentare privind desemnarea ca medicament orfan sunt disponibile pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2284](https://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2284).

### Cum acționează Albrioza?

Nu este pe deplin clar modul în care acționează Albrioza, dar s-a preconizat că cele două substanțe active, fenilbutiratul de sodiu și ursodoxicoltaurina, vor reduce deteriorarea celulelor nervoase și vor preveni moartea lor. Acest lucru ar fi trebuit să ajute la menținerea funcției musculare normale și la încetinirea agravării bolii.

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

Compania a furnizat rezultate dintr-un studiu principal care a cuprins 137 de pacienți cu SLA care au primit fie Albrioza, fie placebo (un preparat inactiv) în plus față de tratamentul standard, timp de 24 săptămâni. Principala măsură a eficacității a fost rata la care simptomele pacienților, cum ar fi

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

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

An agency of the European Union



dificultatea de a vorbi, de a respira, de a mânca și de a efectua alte activități zilnice normale, s-au agravat pe parcursul studiului. Evaluarea s-a făcut pe o scară de evaluare standard, numită „scara de evaluare funcțională ALS revizuită” (ALSFRS-R). Compania a prezentat și rezultate cu privire la timpul de supraviețuire total.

## **Care au fost principalele motive pentru refuzul autorizației de punere pe piață?**

La momentul avizului inițial din iunie 2023, agenția avea motive de îngrijorare cu privire la faptul că studiul principal nu a demonstrat în mod convingător că Albrioză este eficace în încetinirea agravării bolii. De asemenea, datele privind supraviețuirea nu au fost fiabile, având în vedere modul în care au fost colectate și analizate datele. Prin urmare, agenția a considerat că nu se poate stabili un echilibru pozitiv între beneficiile și riscurile asociate cu Albrioză. De aceea, agenția a recomandat refuzul autorizației de punere pe piață. Atunci când a emis această recomandare, agenția a avut în vedere și opinia grupurilor de experți, inclusiv a reprezentanților pacienților și a unor experți neurologi.

În cursul reexaminării, agenția a evaluat răspunsurile companiei cu privire la motivele sale de îngrijorare și a consultat un grup de experți în domeniul neurologiei. În urma reexaminării, motivele de îngrijorare ale agenției nu au fost soluționate și, prin urmare, a fost confirmat refuzul inițial.

De asemenea, agenția a luat în considerare mai multe intervenții ale unor terți din partea asociațiilor de pacienți cu SLA, a promotorilor cauzei persoanelor cu SLA și a unei asociații naționale de neurologie.

## **Refuzul afectează pacienții din studii clinice?**

Compania a informat agenția că nu există consecințe pentru pacienții aflați în prezent în studii clinice cu Albrioză. Dacă participați la un studiu clinic și aveți nevoie de informații suplimentare despre tratamentul dumneavoastră, adresați-vă medicului din cadrul studiului respectiv.