



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25. apríla 2025  
EMA/128274/2025  
EMA/H/C/006068

## Stiahnutie žiadosti o povolenie na uvedenie na trh pre liek Dazluma (troriluzol-hydrochlorid monohydrát)

Spoločnosť Biohaven Bioscience Ireland Limited stiahla svoju žiadosť o povolenie na uvedenie lieku Dazluma na trh určeného na liečbu spinocerebrálnej ataxie genotypu 3 (SCA3), čo je dedičná choroba mozgu, ktorá ovplyvňuje koordináciu a rovnováhu.

Spoločnosť 24. marca 2025 stiahla svoju žiadosť.

### Čo je liek Dazluma a aké bolo jeho predpokladané použitie?

Liek Dazluma sa vyvíja ako liek, ktorý sa mal používať u dospelých na liečbu SCA3. Spoločnosť počas hodnotenia požiadala o rozšírenie indikácie tak, aby zahŕňala všetky formy spinocerebrálnej ataxie. V prípade spinocerebrálnej ataxie dochádza k poškodeniu a odumieraniu nervových buniek v mozočku (časti mozgu, ktorá riadi pohyb a rovnováhu). To vedie postupne k zhoršovaniu koordinácie, reči, chôdze a rovnováhy.

Liek Dazluma obsahuje liečivo troriluzol-hydrochlorid monohydrát a mal byť dostupný vo forme kapsúl na užívanie ústami.

Liek Dazluma bol 10. decembra 2021 označený ako liek na zriedkavé choroby (liek, ktorý sa používa pri zriedkavých chorobách) na liečbu spinocerebrálnej ataxie. Viac informácií o označovaní liekov ako lieky na zriedkavé choroby sa nachádza na [webovej stránke agentúry](#).

### Akým spôsobom liek Dazluma účinkuje?

Liečivo lieku Dazluma, troriluzol-hydrochlorid monohydrát, je prekursor riluzolu. To znamená, že sa v tele premieňa na aktívnu formu riluzolu.

V dôsledku vysokej hladiny glutamátu, chemickej látky, ktorá umožňuje nervovým bunkám komunikovať s inými bunkami, sa zvyšuje stimulácia receptorov (proteínov) v mozočku. To môže viesť k zvýšeniu hladiny vápnika v nervových bunkách, a tým spôsobiť ich odumieranie. Predpokladá sa, že mechanizmus účinku troriluzolu pri spinocerebrálnej ataxii spočíva v znížení hladiny glutamátu v spojivách medzi nervovými bunkami. To môže zmeniť hypererexcitabilitu v nervových bunkách (stav,

---

**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



keď sa nervové bunky stanú príliš citlivými) v mozogku, ktorá pomáha kontrolovať rovnováhu a koordináciu.

## **Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?**

Spoločnosť predložila údaje z hlavnej štúdie zahŕňajúcej 218 dospelých s rôznymi formami spinocerebrálnej ataxie vrátane SCA3, v ktorej sa liek Dazluma porovnával s placebom (zdanlivým liekom). Hlavným meradlom účinnosti bola zmena závažnosti príznakov po 48 týždňoch liečby, ktorá sa merala pomocou funkčnej stupnice na posúdenie a hodnotenie ataxie (f-SARA). Pomocou stupnice F-SARA sa meria schopnosť osoby vykonávať úlohy, ktoré ukazujú, do akej miery dokáže kontrolovať svoje pohyby a udržať rovnováhu. Stupnica sa pohybuje od 0 do 16 bodov, pričom vyššie skóre znamená závažnejšiu ataxiu. Spoločnosť počas hodnotenia predložila aj údaje z praxe o pacientoch so spinocerebrálnou ataxiou, v ktorých sa porovnávalo, do akej miery sa ochorenie zhoršilo u pacientov liečených liekom Dazluma v porovnaní s pacientmi, ktorí nedostávali žiadnu liečbu.

## **V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?**

Spoločnosť stiahla žiadosť po tom, ako Európska agentúra pre lieky vyhodnotila informácie, ktoré spoločnosť predložila, a vypracovala otázky pre spoločnosť. Po tom, ako agentúra posúdila odpovede spoločnosti na poslednú sériu otázok, ešte stále zostali niektoré otázky nevyriešené.

## **Aké bolo v tom čase odporúčanie agentúry?**

Na základe preskúmania údajov a odpovedí spoločnosti na otázky agentúry mala agentúra v čase stiahnutia žiadosti určité výhrady a dospela k predbežnému stanovisku, že liek Dazluma nemôže byť povolený na liečbu spinocerebrálnej ataxie.

Vzhľadom na to, že na základe zistení hlavnej štúdie sa nepreukázalo, že liek Dazluma je pri liečbe spinocerebrálnej ataxie účinnejší ako placebo, agentúra usúdila, že z nej nemožno vyvodit' žiadne závery. Spoločnosť takisto porovnala účinnosť lieku Dazluma s údajmi z praxe od neliečených pacientov. Agentúra však usúdila, že výsledky tohto porovnania nie sú platné, pretože rozdiel v progresii ochorenia medzi pacientmi liečenými liekom Dazluma a neliečenými pacientmi mohli okrem faktorov, ktoré spoločnosť vo svojej analýze zvažovala, ovplyvniť aj ďalšie faktory. Agentúra preto v čase stiahnutia žiadosti zastávala názor, že účinnosť lieku Dazluma pri liečbe spinocerebrálnej ataxie nebola preukázaná.

Spoločnosť požiadala, aby bol liek Dazluma označený ako nové liečivo na základe toho, že účinnosť a bezpečnosť jej liečiva sa výrazne líši od účinnosti a bezpečnosti liečiva, ktoré je už v Európskej únii (EÚ) povolené. Agentúra dospela k záveru, že spoločnosť nepreukázala, že účinnosť alebo bezpečnosť troriluzol-hydrochlorid monohydrátu sa výrazne líši od jeho účinnej formy, riluzolu, ktorá je už ako liek v EÚ povolená na používanie. Na základe informácií predložených v tomto čase nemohla preto agentúra dospieť k záveru, že troriluzol-hydrochlorid monohydrát je novým liečivom.

## **Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?**

Spoločnosť vo svojom [liste](#) oznamujúcom agentúre stiahnutie žiadosti uviedla, že plánuje získať dodatočné údaje na podporu označenia troriluzol-hydrochlorid monohydrátu ako nového liečiva a po získaní týchto údajov plánuje predložiť novú žiadosť.

## **Má stiahnutie žiadosti nejaké dôsledky pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúšaniach alebo na programoch na použitie lieku v naliehavých prípadoch?**

Spoločnosť informovala agentúru, že pre pacientov používajúcich liek Dazluma, ktorí sa v súčasnosti zúčastňujú na klinických skúšaniach, nevyplývajú žiadne dôsledky. Spoločnosť začína realizovať programy, v ktorých sa liek použije v naliehavých prípadoch.

Ak sa zúčastňujete na klinickom skúšaní a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.