



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13. októbra 2023
EMA/500758/2023
EMA/H/C/005901

Zamietnutie povolenia na uvedenie na trh pre liek Albrioza (*fenylbutyrát sodný/ursodoxikolaurín*)

Opätovným preskúmaním sa potvrdilo zamietnutie

Európska agentúra pre lieky po preskúmaní svojho pôvodného stanoviska potvrdila svoje odporúčanie zamietnuť povolenie na uvedenie na trh pre liek Albrioza. Liek bol určený na liečbu amyotrofickej laterálnej sklerózy.

Agentúra vydala svoje stanovisko po opätovnom preskúmaní 12. októbra 2023. Svoje pôvodné stanovisko agentúra vydala 22. júna 2023. Spoločnosť, ktorá požiadala o povolenie lieku Albrioza, je liek Amylyx Pharmaceuticals EMEA B.V.

Čo je liek Albrioza a na čo bol určený?

Liek Albrioza bol vyvinutý ako liek pre dospelých s amyotrofickou laterálnou sklerózou (ALS). ALS je progresívne ochorenie nervového systému, pri ktorom nervové bunky v mozgu a mieche, ktoré riadia mimovoľný pohyb, postupne degenerujú, čo spôsobuje stratu svalovej funkcie a paralýzu. Liek obsahuje dve liečivá, fenylbutyrát sodný a ursodoxikolaurín, a mal byť dostupný vo forme prášku, ktorý sa má rozpustiť vo vode a užívať ústami.

Liek Albrioza bol 4. júna 2020 označený ako liek na zriedkavé choroby (liek, ktorý sa používa pri zriedkavých chorobách) na liečbu ALS. Viac informácií o označovaní liekov ako lieky na zriedkavé choroby sa nachádza na webovom sídle agentúry: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2284.

Akým spôsobom liek Albrioza účinkuje?

Nie je úplne jasné, ako liek Albrioza účinkuje, ale predpokladalo sa, že liečivá fenylbutyrát sodný a ursodoxikolaurín znížia poškodenie nervových buniek a zabránia ich odumretiu. Predpokladalo sa, že to pomôže zachovať normálnu funkciu svalov a spomaliť zhoršovanie ochorenia.

Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Spoločnosť predložila výsledky z jednej hlavnej štúdie zahŕňajúcej 137 pacientov s ALS, ktorí počas 24 týždňov okrem štandardnej liečby dostávali buď liek Albrioza alebo placebo (zdanlivý liek). Hlavným meradlom účinnosti bola miera zhoršenia príznakov pacientov, ako sú ťažkosti pri rozprávaní, dýchaní,

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

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

An agency of the European Union



stravovaní a vykonávaní iných bežných každodenných činností počas štúdie. To sa posudzovalo pomocou štandardnej hodnotiacej stupnice známej ako revidovaná funkčná hodnotiacia stupnica ALS (ALSFRS-R). Spoločnosť predložila aj výsledky o celkovom čase prežitia.

Aké boli hlavné dôvody zamietnutia povolenia na uvedenie na trh?

V čase vydania pôvodného stanoviska v júni 2023 mala agentúra výhrady, že v hlavnej štúdii sa presvedčivo nepreukázalo, že liek Albriozia je účinný pri spomaľovaní progresie ochorenia. Údaje o prežití tiež neboli spoľahlivé vzhľadom na spôsob, akým sa údaje zhromažďovali a analyzovali. Agentúra preto zastávala názor, že nie je možné stanoviť pozitívny pomer prínosu a rizika lieku Albriozia. Agentúra preto odporučila zamietnutie povolenia na uvedenie na trh. Agentúra vo svojom odporúčaní zohľadnila stanovisko expertných skupín vrátane zástupcov pacientov a odborníkov v oblasti neurológie.

Počas opätovného preskúmania agentúra posúdila odpovede spoločnosti na výhrady a konzultovala so skupinou odborníkov v oblasti neurológie. Po opätovnom preskúmaní výhrady agentúry neboli nevyriešené, a preto sa pôvodné zamietnutie potvrdilo.

Agentúra vzala do úvahy aj niekoľko zásahov tretích strán zo strany združení pacientov ALS, advokátov ALS a národného neurologického združenia.

Má zamietnutie žiadosti dôsledky pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúškaniach?

Spoločnosť informovala agentúru, že pre pacientov, ktorí sa v súčasnosti zúčastňujú na klinických skúškaniach lieku Albriozia, nevyplývajú žiadne dôsledky. Ak ste však účastníkom klinického skúšania a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.