



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Umik vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Dazluma (troriluzol hidroklorid monohidrat)

Podjetje Biohaven Bioscience Ireland Limited je umaknilo vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Dazluma za zdravljenje spinocerebralne ataksije genotipa 3 (SCA3), tj. dedne možganske bolezni, ki vpliva na usklajenost gibov in ravnotežje.

Podjetje je vlogo umaknilo 24. marca 2025.

Kaj je zdravilo Dazluma in za kaj naj bi se uporabljalo?

Zdravilo Dazluma se razvija kot zdravilo, ki naj bi se uporabljalo pri odraslih za zdravljenje SCA3. Med ocenjevanjem je podjetje zaprosilo za razširitev indikacije, tako da bi vključevala vse oblike spinocerebralne ataksije. Pri spinocerebralni ataksiji se živčne celice v malih možganih (delu možganov, ki upravlja gibanje in ravnotežje) poškodujejo in odmrejo. Posledica tega so naprdujoče težave z usklajevanjem gibov, govorom, hojo in ravnotežjem.

Zdravilo Dazluma vsebuje učinkovino troriluzol hidroklorid monohidrat in naj bi bilo na voljo v obliki kapsul za peroralno uporabo.

Zdravilo Dazluma je bilo 10. decembra 2021 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za zdravljenje spinocerebralne ataksije. Več informacij o določitvi zdravil sirot je voljo na [spletišču agencije](#).

Kako zdravilo Dazluma deluje?

Učinkovina v zdravilu Dazluma, troriluzol hidroklorid monohidrat, je predzdravilo riluzola. To pomeni, da se v svojo aktivno obliko pretvori v telesu.

Visoke ravni glutamata, tj. kemične snovi, ki omogoča živčnim celicam komunikacijo z drugimi celicami, povečujejo stimulacijo receptorjev (beljakovin) v malih možganih. To lahko poveča ravni kalcija v živčnih celicah, kar lahko povzroči njihovo odmrtnje. Mehanizem delovanja troriluzola pri spinocerebralni ataksiji naj bi znižal ravni glutamata pri povezavah med živčnimi celicami. To lahko spremeni hiperekscitabilnost živčnih celic (ko postanejo preveč občutljive) v malih možganih, kar pomaga nadzorovati ravnotežje in usklajenost gibov.

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



Katero dokumentacijo je podjetje predložilo v podporo svoji vlogi?

Podjetje je predstavilo podatke iz glavne študije, v katero je bilo vključenih 218 odraslih z različnimi oblikami spinocerebralne ataksije, vključno s SCA3, v kateri so zdravilo Dazluma primerjali s placebom (zdravilom brez učinkovine). Glavno merilo učinkovitosti je bila sprememba resnosti simptomov, izmerjena z uporabo funkcionalne ocenjevalne lestvice ataksije (f-SARA) po 48 tednih zdravljenja. Lestvica f-SARA meri sposobnost osebe, da opravlja naloge, ki kažejo, kako dobro lahko nadzoruje svoje gibe in ohranja ravnotežje. Ocene se gibljejo od 0 do 16, pri čemer višje ocene kažejo na hujšo ataksijo. Med ocenjevanjem je podjetje predstavilo tudi dejanske podatke bolnikov s spinocerebralno ataksijo, s katerimi so primerjali napredovanje bolezni pri bolnikih, zdravljenih z zdravilom Dazluma, in bolnikih, ki niso prejeli nobenega zdravljenja.

Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?

Vlogo je podjetje umaknilo po tem, ko je Evropska agencija za zdravila že ocenila začetno dokumentacijo, ki jo je predložilo podjetje, in oblikovala seznam vprašanj. Ko je agencija ocenila odgovore podjetja na zadnji sklop vprašanj, so nekatera vprašanja še vedno ostala nerešena.

Kakšno je bilo takrat priporočilo agencije?

Agencija je na podlagi pregleda podatkov in odgovorov podjetja na vprašanja, ki jih je zastavila, ob umiku vloge izrazila določene zadržke in začasno menila, da zdravilo Dazluma ni mogoče odobriti za zdravljenje spinocerebralne ataksije.

Ker ugotovitve glavne študije niso pokazale, da bi bilo zdravilo Dazluma učinkovitejše od placeba pri zdravljenju spinocerebralne ataksije, je agencija menila, da na podlagi tega ni mogoče sprejeti nobenih zaključkov. Podjetje je učinkovitost zdravila Dazluma primerjalo tudi s podatki iz resničnega sveta pri nezdravljenih bolnikih. Vendar pa je agencija menila, da rezultati te primerjave niso veljavni, saj bi dodatni dejavniki, ki jih je podjetje upoštevalo v svoji analizi, lahko vplivali na razliko v napredovanju bolezni med bolniki, zdravljenimi z zdravilom Dazluma, in nezdravljenimi bolniki. Zato je ob umiku vloge menila, da učinkovitost zdravila Dazluma pri zdravljenju spinocerebralne ataksije ni bila dokazana.

Podjetje je vložilo vlogo za določitev učinkovine v zdravilu Dazluma kot nove učinkovine, saj se njuna učinkovitost in varnost bistveno razlikujeta od učinkovitosti in varnosti zdravila, ki je že odobreno v Evropski uniji (EU). Agencija je menila, da podjetje ni dokazalo, da se učinkovitost ali varnost troriluzol hidroklorida monohidrata bistveno razlikuje od njegove aktivne oblike, tj. riluzola, ki je že odobren za uporabo kot zdravilo v EU. Na podlagi trenutno predloženih informacij zato ni mogla zaključiti, da je troriluzol hidroklorid monohidrat nova učinkovina.

Kakšni so bili razlogi podjetja za umik vloge?

Podjetje je v [dopisu](#), s katerim je agencijo obvestilo o umiku vloge, navedlo, da namerava pridobiti dodatne podatke v podporo statusu nove učinkovine troriluzol hidroklorid monohidrat in predložiti novo vlogo, ko bodo ti podatki pridobljeni.

Kakšne so posledice umika vloge za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih ali programih sočutne uporabe zdravila?

Podjetje je agencijo obvestilo, da umik vloge nima nobenih posledic za bolnike, ki trenutno sodelujejo v kliničnih preskušanjih z zdravilom Dazluma. Podjetje začneja programe sočutne uporabe.

Če ste vključeni v klinično preskušanje in potrebujete več informacij o zdravljenju, se obrnite na zdravnika, ki sodeluje v kliničnem preskušanju.