



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13. oktober 2023
EMA/500759/2023
EMA/H/C/005901

Zavrnitev vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Albrioza (*natrijev fenilbutirat/ursodoksikoltaurin*)

Zavrnitev po ponovni presoji potrjena

Evropska agencija za zdravila je po ponovni proučitvi svojega prvotnega mnenja potrdila priporočilo za zavrnitev vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Albrioza. Zdravilo je bilo namenjeno za zdravljenje amiotrofične lateralne skleroze.

Agencija je mnenje po ponovni presoji izdala 12. oktobra 2023. Agencija je prvotno mnenje izdala 22. junija 2023. Vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Albrioza je predložila družba Amylyx Pharmaceuticals EMEA B.V.

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

Zdravilo Albrioza je bilo razvito kot zdravilo za odrasle z amiotrofično lateralno sklerozo (ALS). ALS je napredujoča bolezen živčnega sistema, pri kateri živčne celice v možganih in hrbtenjači, ki nadzorujejo prostovoljne gibe, postopoma propadajo, kar povzroči prenehanje delovanja mišic in paralizo. Zdravilo vsebuje dve učinkovini, natrijev fenilbutirat in ursodoksikoltaurin, ter naj bi bilo na voljo v obliki praška za raztapljanje v vodi in peroralno uporabo.

Zdravilo Albrioza je bilo 4. junija 2020 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za zdravljenje ALS. Več informacij o zdravilih sirotah je voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2284.

Kako zdravilo Albrioza deluje?

Kako zdravilo Albrioza deluje, ni popolnoma jasno, vendar naj bi obe učinkovini, natrijev fenilbutirat in ursodoksikoltaurin, zmanjšali poškodbe živčnih celic in preprečili njihovo odmiranje. To naj bi pripomoglo k ohranjanju normalnega delovanja mišic in upočasnitvi poslabšanja bolezni.

Katero dokumentacijo je družba predložila v podporo svoji vlogi?

Družba je predložila rezultate ene glavne študije, v katero je bilo vključenih 137 bolnikov z ALS, ki so 24 tednov poleg običajnega zdravljenja prejeli bodisi zdravilo Albrioza bodisi placebo (zdravilo brez učinkovine). Glavno merilo učinkovitosti je bila stopnja, do katere so se med študijo poslabšali

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



simptomi bolnikov, kot so težave z govorom, dihanjem, uživanjem hrane in izvajanjem drugih običajnih dnevnih dejavnosti. To so ocenili na podlagi standardne ocenjevalne lestvice, imenovane „revidirana funkcijska ocenjevalna lestvica za bolnike z ALS“ (ALSFRS-R). Družba je predložila tudi rezultate o skupnem času preživetja.

Kateri so bili glavni razlogi za zavrnitev vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom?

V času izdaje prvotnega mnenja, junija 2023, je imela agencija zadržke, da glavna študija ni prepričljivo pokazala učinkovitosti zdravila Albrioz pri upočasnitvi poslabšanja bolezni. Glede na način zbiranja in analize podatkov tudi podatki o preživetju niso bili zanesljivi. Zato je agencija menila, da ni mogoče zagotoviti pozitivnega razmerja med koristmi in tveganji, povezanimi z zdravilom Albrioz, ter priporočila zavrnitev vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom. Pri pripravi tega priporočila je agencija upoštevala tudi nasvete strokovnih skupin, vključno s predstavniki bolnikov in strokovnjaki za nevrologijo.

Med ponovnim pregledom je agencija ocenila odgovore družbe na zadržke in se posvetovala s skupino strokovnjakov za nevrologijo. Po ponovnem pregledu zadržki agencije niso bili odpravljeni, zato je potrdila prvotno zavrnitev.

Agencija je upoštevala tudi več posredovanj tretjih strani, prejetih od združenj bolnikov z ALS, zagovornikov bolnikov z ALS in nacionalnega združenja za nevrologijo.

Ali ta zavrnitev vpliva na bolnike v kliničnih preskušanjih?

Družba je agencijo obvestila, da zavrnitev vloge nima nobenih posledic za bolnike, ki trenutno sodelujejo v kliničnih preskušanjih z zdravilom Albrioz. Če ste vključeni v klinično preskušanje in potrebujete več informacij o zdravljenju, se obrnite na zdravnika, ki sodeluje v kliničnem preskušanju.