



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13 oktober 2023  
EMA/500760/2023  
EMA/H/C/005901

## Avslag på ansökan om godkännande för försäljning av Albrioza (*natriumfenylbutyrat/ursodoxikoltaurin*)

Förnyad prövning bekräftar avslaget

Efter förnyad prövning av sitt ursprungliga yttrande har Europeiska läkemedelsmyndigheten bekräftat sin rekommendation om att avslå ansökan om godkännande för försäljning av läkemedlet Albrioza. Läkemedlet var avsett för behandling av amyotrofisk lateralskleros.

Myndigheten utfärdade sitt yttrande den 12 oktober 2023 efter förnyad prövning. Myndigheten hade utfärdat sitt ursprungliga yttrande den 22 juni 2023. Företaget som ansökte om godkännande för Albrioza är Amylyx Pharmaceuticals EMEA B.V.

### Vad är Albrioza och skulle det användas för?

Albrioza utvecklades som ett läkemedel för vuxna med amyotrofisk lateralskleros (ALS). ALS är en fortskridande sjukdom i nervsystemet vid vilken nervceller i hjärnan och ryggmärgen som kontrollerar frivilliga rörelser gradvis försämras, med förlorad muskelfunktion och förlamning som följd. Läkemedlet innehåller två aktiva substanser, natriumfenylbutyrat och ursodoxikoltaurin, och skulle finnas som ett pulver för att lösas upp i vatten och tas genom munnen.

Albrioza klassificerades den 4 juni 2020 som ett säräkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) avsett att användas vid behandling av ALS. Mer information om klassificeringen som säräkemedel finns på Europeiska läkemedelsmyndighetens (EMA) webbplats: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2284](https://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2284).

### Hur verkar Albrioza?

Det är inte helt klart hur Albrioza verkar, men de två aktiva substanserna natriumfenylbutyrat och ursodoxikoltaurin förväntades minska skadorna på nervcellerna och förhindra att de dör. Detta förväntades bidra till att bibehålla normal muskelfunktion och bromsa försämringen av sjukdomen.

### Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Företaget lämnade in resultat från en huvudstudie på 137 patienter med ALS som fick Albrioza eller placebo (overksam behandling) som tillägg till sin standardbehandling under 24 veckor. Huvudmålet på verkningsförmåga var den hastighet med vilken patienternas sjukdomstecken, såsom svårighet att

**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



tala, andas, äta och utföra andra normala dagliga aktiviteter, försämrades under studien. Detta bedömdes med hjälp av en standardiserad bedömningskala som kallas "ALS Functional Rating Scale revised" (ALSFRS-R). Företaget tillhandahöll även resultat om total överlevnadstid.

## **Vilka var de främsta skälen till att avslå ansökan om godkännande för försäljning?**

Vid tidpunkten för det ursprungliga yttrandet i juni 2023 ansåg myndigheten att huvudstudien inte på ett övertygande sätt visade att Albriozia var effektivt när det gäller att bromsa försämringen av sjukdomen. Uppgifterna om överlevnad var inte heller tillförlitliga med tanke på hur uppgifterna samlades in och analyserades. Myndigheten ansåg därför att det positiva nytta-riskförhållandet för Albriozia inte kunde fastställas. Myndigheten rekommenderade följaktligen att godkännande för försäljning inte skulle beviljas. I samband med denna rekommendation beaktade EMA även råd från expertgrupper, däribland patientrepresentanter och neurologiska experter.

Under den förnyade prövningen bedömde myndigheten företagets svar på dess betänkligheter och samrådde med en grupp neurologiska experter. Efter den förnyade prövningen hade myndighetens betänkligheter inte avhjälpats och det ursprungliga avslaget bekräftades därför.

Myndigheten tog också hänsyn till flera tredjepartsinterventioner från patientorganisationer för ALS, förkämpar för ALS-drabbades rättigheter och en nationell neurologiförening.

## **Påverkar detta avslag patienter som deltar i kliniska prövningar?**

Företaget informerade myndigheten om att återkallandet inte får några följder för patienter som för närvarande deltar i kliniska prövningar med Albriozia. Om du deltar i en klinisk prövning och behöver mer information om din behandling kan du kontakta läkaren i den kliniska prövningen.