

**COMUNICAT DE PRESĂ**  
**Agenția Națională a Medicamentului și a Dispozitivelor Medicale din**  
**România prezintă în cele ce urmează traducerea în limba română a**  
**comunicatului de presă al Agenției Europene pentru Medicamente (European**  
**Medicines Agency - EMA):**  
**Refuzul acordării unei autorizații de punere pe piață pentru medicamentul**  
**Albrioza (*fenilbutirat de sodiu / Acid tauroursodeoxicolic*)**

23 Iunie 2023  
EMA/279343/2023  
EMEA/H/C/005901

Agenția Europeană a Medicamentului a recomandat refuzul acordării unei autorizații de punere pe piață pentru medicamentul Albrioza, un medicament indicat pentru tratamentul sclerozei laterale amiotrofice (ALS).

Agenția a emis o recomandare în data de 22 Iunie 2023. Compania care a solicitat autorizația, Amylyx Pharmaceuticals EMEA B.V., poate solicita reexaminarea recomandării în termen de 15 zile de la primirea acesteia.

### **Ce este Albrioza și pentru ce se utilizează?**

Albrioza a fost dezvoltat ca medicament recomandat în tratamentul pacienților adulți cu ALS, boală progresivă a sistemului nervos, în care celulele nervoase localizate la nivelul creierului și măduvei spinării, care controlează mișcarea voluntară, se deteriorează treptat, provocând pierderea funcției musculare și paralizie. Medicamentul, care conține două substanțe active, fenilbutirat de sodiu și acid tauroursodeoxicolic, urma să fie disponibil sub formă de pulbere pentru a fi dizolvat în apă și administrat pe cale orală.

În data de 4 Iunie 2020, Albrioza a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) pentru tratamentul SLA. Mai multe informații despre primirea statutului de „medicament orfan” sunt disponibile pe website-ul agenției: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2284](https://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2284).

### **Cum acționează medicamentul Albrioza?**

Mecanismul de acțiune al medicamentului Albrioza nu este pe deplin cunoscut, însă s-a presupus că cele două substanțe active ale acestuia, fenilbutiratul de sodiu și acidul tauroursodeoxicolic, reduc deteriorarea celulelor nervoase și împiedică distrugerea acestora. S-a presupus că acest lucru ar fi util în susținerea unui tonus muscular normal și ar încetini progresia bolii.

## **Ce a prezentat compania pentru a-și susține cererea?**

Compania a furnizat rezultatele provenite dintr-un studiu principal care a implicat 137 de pacienți cu SLA, cărora li s-a administrat fie Albrioză, fie un medicament de tip placebo (un preparat inactiv), în plus față de tratamentul standard, pe parcursul a 24 de săptămâni. Principala măsură a eficacității a fost rata la care simptomele pacienților, precum dificultatea în vorbire, respirație, hrănire și efectuare a altor activități zilnice normale, s-au agravat în timpul studiului. Acest lucru a fost evaluat utilizând o scală de evaluare standard, cunoscută sub numele de „Scală de evaluare funcțională ALS revizuită” (ALSFRS-R). De asemenea, compania a furnizat rezultate privind durata generală de supraviețuire.

## **Care au fost principalele motive pentru refuzul acordării unei autorizații de punere pe piață?**

Agenția și-a manifestat îngrijorarea cu privire la studiul principal, care nu a demonstrat în mod convingător faptul că medicamentul Albrioză ar fi eficient în încetinirea progresiei bolii. De asemenea, datele privind supraviețuirea nu au fost fiabile, având în vedere modul în care acestea au fost colectate și analizate.

Prin urmare, opinia Agenției a fost că nu s-a putut stabili un raport pozitiv beneficiorisc pentru medicamentul Albrioză. Prin urmare, Agenția a recomandat refuzul acordării unei autorizații de punere pe piață.

În formularea acestei recomandări, Agenția a luat în considerare și opiniile grupurilor de experți, inclusiv cele ale reprezentanților pacienților și medicilor cu specialitatea neurologie.

## **Afectează acest refuz pacienții din studiile clinice?**

Compania a informat Agenția că nu există consecințe pentru pacienții din studiile clinice cu medicamentul Albrioză. Dacă faceți parte dintr-un studiu clinic și aveți nevoie de mai multe informații referitoare la tratamentul pe care îl urmați, vă rugăm să vă adresați medicului dumneavoastră.