모바일에서 잘 안 보이는 경우, PC로 보시는 것을 권장드립니다.

Source	국문 번역 (DeepL)	원문 기사
Official Announcement	TUDCA-ALS 컨소시엄이 근위축성 측삭경화증(ALS) 환자를 대상으로 한 TUDCA의 유럽 3상 임상시험의 탑라인 결과를 발표했습니다. 결과 요약: TUDCA-ALS 연구는 ALSFRS-R 점수(ALS의 기능 및 운동 변화 측정)로 측정한 1차 평가변수를 충족하지 못했습니다. 2차 평가변수에서도 유의미한 차이가 관찰되지 않았습니다. TUDCA 치료는 내약성이 우수하고 일반적으로 안전했으며, 위약과 치료군 모두에서 주로 경미한 위장 부작용이 발생했습니다. 코로나19 팬데믹으로 인해 환자 모집이 감소하여 이후 시점의 참여자 수가 적어 통계 분석에 부정적인 영향을 미쳤습니다. 위약군과 치료군 간의 추가적인 차이점을 탐색하기 위해 다른 시점과 진행 속도가 느린 그룹과 빠른 그룹에 대한 분석을 포함하여 데이터의 측면을 추가로 추구하고 있습니다. 전체 결과는 추후에 발표될 예정입니다.	The TUDCA-ALS consortium announces top-line results from the European phase 3 clinical trial of TUDCA in patients with amyotrophic lateral sclerosis (ALS). *Summary of outcomes:* *The TUDCA-ALS study did not meet the primary endpoint, measured by ALSFRS-R scores (a measure of functional and motor changes in ALS). There were also no significant differences observed across secondary endpoints.* *Treatment with TUDCA was well tolerated and generally safe, with predominantly mild gastrointestinal adverse effects occurring both in the placebo and treatment arms.* *The COVID-19 pandemic contributed to a reduced patient recruitment, which negatively impacted the statistical analysis due to low participant numbers at the later timepoints.* *Aspects of the data are being pursued further to explore additional differences between placebo and treatment arms, including different time points*

	TUDCA-ALS 컨소시엄은 운동신경질환(MND)으로도 알려진 근위축성 측색 경화증(ALS) 환자를 대상으로 한 타우로소데옥시콜산(TUDCA)의 무작위 위약 대조 3상 임상시험의 헤드라인 결과를 발표합니다. 이 연구는 18개월에 걸쳐 진행되었으며, 유럽 7개국 25개 기관이 연구에 참여했습니다. 이 연구는 18개월째에 개정된 근위축성 측삭 경화증 기능 평가 척도(ALSFRS-R) 점수로 측정한 반응 환자와 비반응 환자의 차이로 정의된 1차 평가지표를 충족하지 못했습니다. 또한 생존 기간과 신경섬유 경단백질과 같은 바이오마커의 변화를 포함한 이차 결과에서도 TUDCA와 위약 간에 통계적으로 유의미한 차이가 발견되지 않았습니다. 연구 책임자인 이탈리아 후마니타스 연구병원 신경과 알베르토 알바네즈 교수는 다음과 같이 말했습니다: 이 임상시험은 코로나19 팬데믹 기간 동안 진행되었으며, 반복되는 팬데믹 파동으로 인해 수많은 어려움에 직면했습니다. 여기에는 임상시험 시작 시 예상했던 440명의 참가자가 336명으로 감소하여 치료군과 위약군에 균등하게 배분된 것도 포함되었습니다. 첫 9개월 동안 위약군 참가자의 중도 탈락이 TUDCA군보다 훨씬	*and analysis in slow versus fast progressing groups. Full results will be presented at a later stage.* --- The TUDCA-ALS consortium is announcing headline results from the randomised placebo-controlled phase 3 clinical trial of tauroursodeoxycholic acid (TUDCA) in people living with amyotrophic lateral sclerosis (ALS), also known as Motor Neurone Disease (MND). The study ran over 18 months, with 25 European sites participating in the study across seven European countries. The study failed to meet its primary endpoint, defined as a difference in responding and non-responding patients in month 18 as measured by Revised Amyotrophic Lateral Sclerosis Functional Rating Scale (ALSFRS-R) scores. Furthermore, no statistically significant difference was found between TUDCA and placebo in secondary outcomes including time of survival and changes in biomarkers such as neurofilament light protein. The study leader, Professor Alberto Albanese, Neurology Unit Director at Humanitas Research Hospital (Italy) comments:

	많았으며, 각 치료군에서 약 절반의 환자가 18개월이 되는 시점에 중도 탈락했습니다. 컨소시엄은 다양한 시점의 데이터 및 바이오마커에 대한 추가 통계 분석을 포함한 추가 작업을 수행하여 빠른 진행 환자에 비해 느린 진행 환자에서 TUDCA의 효과를 더 명확하게 파악하고 있습니다. 이러한 분석 결과는 2024년 6월 스톡홀름에서 열리는 유럽 루게릭병 치료 네트워크(ENCALS) 회의에서 발표될 예정입니다.	The trial took place during the COVID-19 pandemic and faced numerous challenges posed by repeated pandemic waves. This included a drop from the projected 440 to 336 participants, equally distributed between treatment arms at the start of the trial. Markedly more placebo participants dropped out of the trial during the first 9 months than from the TUDCA arm, with about half of patients reaching the 18-month mark in each treatment arm. The consortium is undertaking additional tasks, including further statistical analysis of data and biomarkers at various timepoints, to gain a clearer understanding of the effects of TUDCA in slow progressing patients compared to fast progressors. These analyses will be presented at the meeting of the European Network for the Cure of ALS (ENCALS) in Stockholm, June 2024.
BioPharma Dive	유럽 연구, 인기 있는 루게릭병 치료제가 효과적이지 않다는 결과 발표 많은 루게릭병 환자들이 보충제로 사용하는 TUDCA라는 화학 물질은 대규모 임상 시험에서 질병을 늦추는 데 위약보다 유의하게 더 효과적이지 않았습니다.	**European study finds popular ALS drug ineffective** A chemical known as TUDCA, which many ALS patients use as a supplement, was not significantly better than a placebo at slowing the disease in a large clinical trial.

	대규모 임상 시험에서 루게릭병 환자들이 일반적으로 사용하는 약물이 신경을 파괴하는 질병 치료에 효과적이지 않다는 사실이 밝혀졌습니다. 이 임상시험은 유럽의 25개 기관에서 300명 이상의 환자를 대상으로 진행되었으며 거의 4년에 걸쳐 완료되었습니다. 수요일에 발표된 높은 수준의 결과에 따르면 이 약물은 일반적으로 안전하지만 1년 반의 치료 후 질병을 늦추는 데는 위약보다 낫지 않았습니다. 이 연구에는 폐활량, 생존율, 신경 손상과 관련이 있는 것으로 추정되는 단백질의 존재 여부와 같은 건강 지표를 살펴보는 일련의 2차 목표도 있었습니다. 그러나 이 연구를 진행한 연구 컨소시엄에 따르면 치료 그룹과 대조 그룹 간에는 큰 차이가 없었다고 합니다. 컨소시엄은 무엇보다도 질병 진행 속도가 느리거나 빠른 환자가 약물에 반응하는 방식에 차이가 있는지 여부를 이해하기 위해 데이터를 추가로 분석 할 것이라고 말했습니다. 이러한 분석 결과는 6월 스톡홀름에서 열리는 의학 회의에서 발표될 예정입니다. 연구 책임자이자 이탈리아 후마니타스 연구 병원의 신경과 책임자인 알베르토 알바네즈는 "전반적인 효과가 입증되지 않아 매우 실망스럽습니다."라고 말했습니다. "루게릭병의	A large clinical trial has found that a drug commonly used by patients with ALS is not effective at treating the nerve-destroying disease. The trial enrolled more than 300 patients across 25 sites in Europe and took nearly four years to complete. High-level results released Wednesday show the drug, while generally safe, was no better than a placebo at slowing the disease after a year and a half of treatment. The study also had a series of secondary goals looking at health measures like lung capacity, survival and the presence of a protein that research suggests is tied to nerve damage. But again, there were no significant differences between the treatment and control groups, according to the research consortium behind the study. The consortium said it will further analyze the data to understand, among other things, whether there was a difference in how patients with slower- or faster-progressing disease responded to the drug. Those analyses will be presented at a medical meeting in June in Stockholm. “We are very disappointed to see there was no overall benefit demonstrated,” said Alberto Albanese, the study leader and director of the neurology unit in Italy’s Humanitas Research

	이질성을 고려할 때, 효과 부족이 전체 시험 집단에 걸쳐 균일한지 여부를 조사하는 것이 중요합니다. 따라서 중간 시점을 기준으로 하위 그룹에 대한 철저한 분석이 진행 중입니다." 이 연구는 TUDCA로 알려진 화학 물질을 평가했습니다. 미국에서는 특정 간 질환 치료제로 승인되었지만, 루게릭병과 같은 신경 퇴행성 질환 환자에게도 도움이 될 수 있다는 연구 결과가 발표되었습니다. 따라서 의사들이 추천하고 루게릭병 환자들이 온라인에서 한 병당 약 30달러에 보충제로 구입할 수 있는 이 약을 찾는 것이 일반화되었습니다. 현재까지 미국 식품의약국은 루게릭병에 특화된 네 가지 의약품을 승인했습니다. 그 중 하나인 렐리브리오는 TUDCA와 페닐부티레이트 나트륨이라는 다른 화학 물질을 결합한 약물입니다. 2022년 가을에 미국 시장에 진출한 렐리브리오는 1년 공급량에 15만 8,000달러의 가격을 책정한 개발사인 Amylyx Pharmaceuticals에 수억 달러의 매출을 올렸습니다. Amylyx의 추산에 따르면 9월 말까지 미국 내 약 3만 명의 루게릭병 환자 중 약 4,000명이 렐리브리오를 복용하고 있습니다. 그러나 회사는 앞으로 몇 주 안에 큰 차질이 발생하면 렐리브리오를 시장에서 철수하기로 결정할 수 있습니다.	Hospital. “Given the heterogeneity of ALS, it is important to explore whether the lack of effect was uniform across the whole trial population. Therefore, thorough analysis of subgroups based at intermediate time points is ongoing.” The study evaluated a chemical known, in short, as TUDCA. In the U.S., it’s approved to treat certain liver diseases, but research indicates that it may also benefit people with neurodegenerative disorders like ALS. It has therefore become commonplace for doctors to recommend and ALS patients to seek out the drug, which can be bought online as a supplement for around $30 per bottle. To date, the Food and Drug Administration has approved four medicines specifically for ALS. One of them, Relyvrio, is a pairing of TUDCA and another chemical called sodium phenylbutyrate. Relyvrio entered the U.S. market in the fall of 2022 and has generated hundreds of millions of dollars in sales for its developer, Amylyx Pharmaceuticals, which initially priced the medicine at $158,000 for a year’s supply. By the end of September, nearly 4,000 of the roughly 30,000 ALS patients in the U.S. were on Relyvrio, according to Amylyx’s estimates.

	이달 초, 이 약의 효과를 확인하기 위한 대규모 임상시험에서 루게릭병 치료 효과가 위약보다 낫지 않다는 사실이 밝혀졌습니다. 이 결과는 실패로 가득 찬 연구 분야에서 렐리브리오를 희망의 원천으로 여겼던 환자와 보호자들에게 큰 실망감을 안겨주었습니다. 현재 이용 가능한 치료법이 있더라도 루게릭병 환자는 일반적으로 진단 후 2~5년 정도밖에 살지 못합니다. Amylyx는 여전히 데이터를 분석하고 있습니다. 그 동안 회사는 렐리브리오에 대한 홍보를 중단했으며 의사들은 더 이상 환자에게 이 약을 추천하지 않겠다고 밝혔습니다. 수요일에 연구 결과가 발표되기 전에 일부 처방자들은 렐리브리오로 치료받은 환자를 투드카 단독으로 전환할 계획을 세웠습니다. 루게릭병 연구 및 치료 접근성에 중점을 둔 영국 소재 자선 단체인 운동신경질환협회는 성명에서 현재 TUDCA를 복용 중인 환자는 "이 연구 결과가 발표된 후 임상 조언이 필요한 경우" 담당 간호사나 신경과 전문의에게 연락해야 한다고 말했습니다. 협회는 "이는 우리가 기대했던 소식이 아니며, 이번 임상시험 결과가 매우 실망스럽다는 것을 잘 알고 있습니다."라고 말했습니다.	The company may decide in the coming weeks to pull Relyvrio from the market, however, in response to a major setback. Earlier this month, a large clinical meant to confirm the drug works instead found it no better than a placebo at combating ALS. The results were deeply disappointing to patients and caregivers, many of whom viewed Relyvrio as a source of hope in an area of research rife with failures. Even with available treatments, ALS patients typically live just two to five years following their diagnosis. Amylyx is still wading through the data. In the meantime, the company has stopped promoting Relyvrio, while doctors have said they will no longer recommend the drug to their patients. Prior to the study results released Wednesday, some prescribers had planned to switch their Relyvrio-treated patients onto TUDCA alone. In a statement, the Motor Neurone Disease Association, a U.K.-based charity focused on ALS research and care access, said patients currently taking TUDCA should contact their nurse or neurologist “if they require clinical advice following the release of these findings.”

		“This is not the news we hoped for, and we understand that these trial results are extremely disappointing,” the association said.
FirstWord	TUDCA 연구 실패로 루게릭병에 대한 실망감 확대 근위축성 측삭 경화증(ALS) 환자들은 이미 이달 초 Amylyx Pharmaceuticals의 Relyvrio(페닐부티레이트 나트륨/타우루소디올)가 PHOENIX 임상시험에서 실패한 후 실망스러운 좌절감에 휩싸여 있었습니다. 이제 렐리브리오의 구성 성분 중 하나를 테스트하는 유럽 연구자 그룹이 또 다른 나쁜 소식을 전했는데, 그 연구도 실패했습니다. TUDCA-ALS 컨소시엄은 타우르소디올로도 알려진 타우르소데옥시콜산(TUDCA)을 18개월 동안 유럽 7개국에서 단일 약제로 평가하는 3상 임상시험을 진행 중이었습니다. 당초에는 작년 말에 최종 결과가 나올 것으로 예상되었습니다. 그러나 수요일, 연구자들은 TUDCA-ALS 임상시험의 1차 평가변수인 루게릭병 기능 평가 척도 - 개정판(ALSFRS-R) 점수가 실패했으며, 생존 기간과 신경섬유 경단백질과 같은 바이오마커의 변화를 포함한 2차 결과에서도	**TUDCA study failure extends run of ALS disappointments** Patients with amyotrophic lateral sclerosis (ALS) were already reeling from the disheartening setback of Amylyx Pharmaceuticals' Relyvrio (sodium phenylbutyrate/taurursodiol) failing in the confirmatory PHOENIX triall earlier this month. Now a group of European researchers testing one of the constituent components of Relyvrio has some more bad news; that study failed, too. The TUDCA-ALS consortium was running a Phase III trial evaluating tauroursodeoxycholic acid (TUDCA), also known as taurursodiol, as a single agent over a period of 18 months across seven European countries. Top-line results were initially expected toward the end of last year. However, on Wednesday, researchers reported that the TUDCA-ALS trial failed on the primary endpoint of ALS Functional Rating Scale - Revised (ALSFRS-R) scores, nor were there any

	TUDCA와 위약 간에 유의미한 차이가 없었다고 발표했습니다. 코로나로 인한 중단 이 연구는 2018년에 시작되어 코로나19 팬데믹 기간 내내 계속되었습니다. 연구자들은 팬데믹의 파장으로 인한 중단으로 예상 참가자 수가 440명에서 336명으로 감소했으며, 연구 후기 단계의 피험자 수가 적어 통계 분석에 부정적인 영향을 미쳤다고 말했습니다. 연구진은 이전 임상 2b상 시험에서 54주 동안 릴루졸과 함께 TUDCA를 투여한 환자들의 중앙 생존 기간이 4~5개월 연장되는 등 TUDCA가 신경 보호 효과가 있는 것으로 나타났다고 언급했습니다. "루게릭병의 이질성을 고려할 때, 효과 부족이 전체 [TUDCA-ALS] 시험 집단에 걸쳐 균일한지 여부를 조사하는 것이 중요합니다. 따라서 중간 시점을 기준으로 하위 그룹에 대한 철저한 분석이 진행 중입니다."라고 연구 책임자인 알베르토 알바니즈는 말합니다. 자세한 결과는 6월에 열리는 유럽 루게릭병 치료 네트워크(ENCALS) 회의에서 발표될 예정입니다. 렐리브리오의 어두운 전망	significant differences between TUDCA and placebo on secondary outcomes including time of survival and changes in biomarkers such as neurofilament light protein. **COVID disruptions** The study began in 2018 and continued throughout the COVID-19 pandemic. Investigators suggested that disruptions from waves of the pandemic resulted in a decrease in the expected number of participants from 440 to 336, and had a detrimental effect on the statistical analysis due to a low number of subjects at later stages of the study. They noted that an earlier Phase IIb trial indicated that TUDCA has neuroprotective properties, with patients who received TUDCA in addition to riluzole for 54 weeks achieving prolonged median survival of four to five months. "Given the heterogeneity of ALS, it is important to explore whether the lack of effect was uniform across the whole [TUDCA-ALS] trial population. Therefore, thorough analysis of subgroups based at intermediate time points is ongoing," commented study lead Alberto Albanese. Detailed

	이 연구 결과는 피닉스 실패 이후 미래가 불투명했던 렐리브리오의 관에 또 하나의 못을 박는 결과를 가져올 것으로 보입니다. 이 약물은 CENTAUR 시험의 2상 데이터를 기반으로 2022년에 논란이 많은 FDA의 정식 승인을 받았으며, Amylyx의 공동 CEO 저스틴 클레는 FDA 자문 청문회에서 연간 15만 8천 달러의 치료제가 확진 시험을 통과하지 못하면 시장에서 퇴출할 준비가 되어 있다고 약속했습니다. 에버코어 ISI의 애널리스트 우머 라팟은 최근 TUDCA-ALS 임상시험에서 "렐리브리오의 두 가지 성분 중 하나가 활성 상태임을 입증하는 데 성공하면 시장 철수 가능성은 거의 제로에 가까워질 것"이라고 제안했지만, 아밀릭스는 렐리브리오의 미래를 결정하기 위한 절차를 진행 중입니다.	results will be presented at the European Network for the Cure of ALS (ENCALS) meeting in June. **Bleaker prospects for Relyvrio** The study outcome likely adds another nail in the coffin of Relyvrio, whose future was already in limbo following the PHOENIX failure. The drug had been granted a controversial full FDA approval in 2022 based on Phase II data from the CENTAUR trial, with Amylyx co-CEO Justin Klee pledging during an FDA advisory hearing that the company was prepared to pull the $158,000-a-year treatment from the market if it didn't pass its confirmatory trial. Amylyx is in the process of deciding what the future holds for Relyvrio, although Evercore ISI analyst Umer Raffat recently suggested that if the TUDCA-ALS trial succeeded in showing that "one of the two components in Relyvrio is active, the odds of any risk of market withdrawal should now be near zero."