



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/701116/2017
EMA/H/C/006327

Aqneursa (*levacetylleucine*)

Общ преглед на Aqneursa и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Aqneursa и за какво се използва?

Aqneursa е лекарство, което се използва за лечение на неврологични симптоми (симптоми, засягащи мозъка и нервите) на болестта на Нийман-Пик тип С (NPC) при възрастни и деца на възраст 6 и повече години и с тегло най-малко 20 kg.

NPC е наследствено заболяване, което засяга способността на организма да транспортира мазнини в клетките. С течение на времето тези мазнини се натрупват в клетките на мозъка и други части на нервната система, което нарушава нормалното функциониране на клетките и в крайна сметка те умират. Това води до симптоми, например проблеми с равновесието, движението и преглъщането, неясен говор и неконтролируемо треперене.

Aqneursa се използва в комбинация с миглустат — друго лекарство за лечение на неврологични симптоми на NPC. Може да се използва и самостоятелно, ако лечението с миглустат е причинило нежелани реакции, които го правят неподходящ за пациента.

NPC се счита за рядко заболяване и Aqneursa е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 20 март 2017 г. Допълнителна информация за лекарствата сираци можете да намерите на [уебсайта](#) на ЕМА.

Aqneursa съдържа активното вещество левацетиллевцин (*levacetylleucine*).

Как се използва Aqneursa?

Aqneursa се отпуска по лекарско предписание. Лекарството се предлага под формата на сашета, съдържащи гранули, които се смесват с вода за приготвяне на суспензия, която се приема през устата 2—3 пъти дневно. Суспензията може да се прилага и през сонда за хранене.

Дозата зависи от телесното тегло на пациента. За повече информация относно употребата на Aqneursa вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

Как действа Aqneursa?

NPC се причинява от промени (мутации) в гени, които предоставят инструкции за производството на протеините, наречени NPC1 и NPC2. Обикновено тези протеини участват в транспортирането на мазнините от лизозомите (малки мехури в клетките, които разграждат големи молекули,

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



например мазнини) до други части на клетката. При хората, които имат NPC, NPC1 или NPC2 не функционират правилно, а това води до натрупване на мазнини в лизозомите, което е вредно за клетките.

Точният механизъм на действие на активното вещество в Aqneurisa, левацетиллевцин, не е известен. Въпреки това проучванията при животни свидетелстват, че левацетиллевцин може да помогне за коригиране на способността на клетките да произвеждат енергия. Това включва способността на клетките да произвеждат аденозин трифосфат — основният източник на енергия за клетките в мозъка, които контролират движението и запазването на равновесие.

Какви ползи от Aqneurisa са установени в проучванията?

В едно основно проучване, обхващащо 60 възрастни и деца на възраст 6 и повече години и с тегло най-малко 20 kg, лечението с Aqneurisa води до подобряване на движението, координацията и способността им за извършване на ежедневни задачи, сравнено с плацебо (сляпо лечение).

В проучването пациентите приемат Aqneurisa или плацебо през първите 12 седмици; 51 от 60-те участници получават също лечение с миглустат. След този период групите се разменят; пациентите, лекувани с Aqneurisa, приемат плацебо, а пациентите, лекувани с плацебо, приемат Aqneurisa в продължение на още 12 седмици. Основната мярка за ефективност е промяната в скората за ефикасността по скалата за оценка и класификация на атаксията (SARA). Скорът по SARA измерва до каква степен атаксията засяга движението, координацията и способността на дадено лице да извършва ежедневни дейности (състояние, което води до загуба на двигателната координация). Скалата варира от 0 (без атаксия) до 40 (тежка атаксия); понижаването на скората на човек означава, че симптомите му се подобряват.

Като цяло лечението с Aqneurisa води до средно намаление от около 2 точки в скората по SARA в сравнение с намаление от 0,6 точки при плацебо. Освен това при пациентите, на които се прилага Aqneurisa и след това са преминали към плацебо, е настъпило влошаване на скората по SARA, след като е спряно лечението с лекарството.

Какви са рисковете, свързани със Aqneurisa?

За пълния списък на нежеланите реакции и ограниченията при Aqneurisa вижте листовката.

Най-честата нежелана реакция при Aqneurisa (която може да засегне не повече от 1 на 10 души) е метеоризъм (газове).

Защо Aqneurisa е разрешен за употреба в ЕС?

NPC е рядко, животозастрашаващо състояние с ограничени възможности за лечение. Към момента на одобряването на Aqneurisa единственото лекарство, разрешено за лечение на неврологични симптоми на NPC, е миглустат.

Въпреки някои неясноти в основното проучване — например продължителността на лечението е относително кратка за лекарство, предназначено за дългосрочна употреба — Aqneurisa води до подобрения в неврологичните симптоми на NPC, включително симптомите, засягащи движението и координацията. Освен това при пациентите, които са спрели лечението, се наблюдава значително влошаване на симптомите. Към момента на одобряването единствената нежелана реакция, свързана с Aqneurisa, е метеоризъм.

Поради това Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Aqneurisa са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Aqneursa?

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Aqneursa, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Aqneursa непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Aqneursa, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Aqneursa:

Aqneursa получава разрешение за употреба, валидно в ЕС, на

Допълнителна информация за Aqneursa можете да намерите на уебсайта на Агенцията:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aqneursa.