



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Aqneursa (*levacetylleucin*)

Přehled pro přípravek Aqneursa a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Aqneursa a k čemu se používá

Aqneursa je léčivý přípravek používaný k léčbě neurologických příznaků (příznaků postihujících mozek a nervy) Niemannovy-Pickovy choroby typu C u dospělých a dětí ve věku od 6 let s tělesnou hmotností nejméně 20 kg.

Niemannova-Pickova choroba typu C je dědičné onemocnění, které ovlivňuje schopnost těla transportovat (přemísťovat) tuky uvnitř buněk. Postupem času se tyto tuky nahromadí v buňkách mozku a dalších částí nervové soustavy, což způsobuje, že buňky přestávají správně fungovat a odumírají. To vede k příznakům, jako jsou problémy s rovnováhou, pohybem a polykáním, nezřetelná mluva a třes.

Přípravek Aqneursa se používá v kombinaci s miglustatem, dalším léčivem k léčbě neurologických příznaků Niemannovy-Pickovy choroby typu C. Může se používat také samostatně, pokud léčba miglustatem způsobuje nežádoucí účinky, kvůli kterým není pro pacienta vhodná.

Niemannova-Pickova choroba typu C je vzácné onemocnění a přípravek Aqneursa byl označen dne 20. března 2017 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na [internetových stránkách](#) agentury EMA.

Přípravek Aqneursa obsahuje léčivou látku levacetylleucin.

Jak se přípravek Aqneursa používá?

Výdej přípravku Aqneursa je vázán na lékařský předpis. Přípravek je dostupný v sáčkích obsahujících granule, které se smíchají s vodou, aby se vytvořila suspenze, která se užívá ústy dvakrát až třikrát denně. Suspenzi lze podávat také gastrostomickou sondou.

Dávka závisí na tělesné hmotnosti pacienta. Více informací o používání přípravku Aqneursa naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Jak přípravek Aqneursa působí?

Niemannova-Pickova choroba typu C je způsobena změnami (mutacemi) v genech, které poskytují instrukce pro tvorbu bílkovin zvaných NPC1 a NPC2. Tyto bílkoviny se obvykle podílejí na transportu tuků z lysozomů (malých váčků uvnitř buněk, které rozkládají velké molekuly, jako jsou tuky) do

Official address Domenico Scarlatti laan 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



jiných částí buněk. U osob s Niemannovou-Pickovou chorobou typu C nefungují bílkoviny NPC1 nebo NPC2 správně, což vede k hromadění tuku v lysozomech, které je pro buňky škodlivé.

Přesný způsob působení léčivé látky v přípravku Aqneursa, levacetylleucinu, není znám. Ze studií na zvířatech však vyplývá, že může přispívat ke zlepšení schopnosti buněk generovat energii. To zahrnuje schopnost buněk vytvářet adenosintrifosfát, hlavní zdroj energie pro buňky v mozku, které řídí pohyb a rovnováhu.

Jaké přínosy přípravku Aqneursa byly prokázány v průběhu studií?

V hlavní studii, do které bylo zařazeno 60 dospělých a dětí ve věku od 6 let s tělesnou hmotností nejméně 20 kg, vedla léčba přípravkem Aqneursa ve srovnání s placebem (neúčinným přípravkem) ke zlepšení pohybu, koordinace a schopnosti vykonávat každodenní úkoly.

Ve studii byl pacientům po dobu prvních 12 týdnů podáván buď přípravek Aqneursa, nebo placebo. 51 z 60 účastníků studie byl podáván také miglustat. Poté se skupiny vyměnily – po dobu dalších 12 týdnů bylo pacientům léčeným přípravkem Aqneursa podáváno placebo a pacientům, kteří užívali placebo, byl podáván přípravek Aqneursa. Hlavním měřítkem účinnosti byla změna skóre na škále hodnocení tíže ataxie (SARA). Skóre SARA měří, do jaké míry jsou pohyb, koordinace a schopnost vykonávat každodenní úkoly ovlivněny ataxií (stavem, který způsobuje ztrátu svalové koordinace). Škála sahá od 0 (žádná ataxie) do 40 (těžká ataxie). Snížení skóre znamená, že se příznaky u dané osoby zlepšují.

Celkově léčba přípravkem Aqneursa vedla k průměrnému snížení skóre SARA o přibližně 2 body, zatímco při podávání placeba se snížila o 0,6 bodu. U pacientů, kterým byl podáván přípravek Aqneursa a kteří byli poté převedeni na placebo, se navíc skóre SARA po ukončení léčby přípravkem Aqneursa zhoršilo.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Aqneursa?

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Aqneursa je uveden v příbalové informaci.

Nejčastějším nežádoucím účinkem přípravku Aqneursa (který může postihnout až 1 osobu z 10) je flatulence (plynatost).

Na základě čeho byl přípravek Aqneursa registrován v EU?

Niemannova-Pickova choroba typu C je vzácné, život ohrožující onemocnění s omezenými možnostmi léčby. V době schválení přípravku Aqneursa byl jediným léčivým přípravkem registrovaným k léčbě neurologických příznaků Niemannovy-Pickovy choroby typu C miglustat.

Navzdory určitým nejistotám v hlavní studii, jako je například poměrně krátká doba léčby u léčivého přípravku určeného k dlouhodobému užívání, vedlo podávání přípravku Aqneursa ke zlepšení neurologických příznaků Niemannovy-Pickovy choroby typu C, včetně příznaků ovlivňujících pohyb a koordinaci. U osob, které léčbu přerušily, navíc došlo k významnému zhoršení příznaků. V době schválení byla jediným nežádoucím účinkem spojeným s přípravkem Aqneursa flatulence.

Evropská agentura pro léčivé přípravky proto rozhodla, že přínosy přípravku Aqneursa převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Aqneursa?

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Aqneursa, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Aqneursa průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Aqneursa jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Aqneursa

Přípravku Aqneursa bylo uděleno rozhodnutí o registraci platné v celé EU dne

Další informace o přípravku Aqneursa jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aqneursa.