



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMADOC-1700519818-3372419
EMA/H/C/006693

Nezglyal (*leriglitzon*)

Přehled pro přípravek Nezglyal ve srozumitelném jazyce a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Nezglyal a k čemu se používá?

Nezglyal je léčivý přípravek, který se používá k léčbě cerebrální adrenoleukodystrofie u chlapců ve věku od 2 do 12 let, kteří na základě skóre neurologických funkcí o hodnotě 0 nebo 1 vykazují mírné nebo žádné příznaky.

Používá se u pacientů, jejichž mozkové léze na snímcích mozku pořízených během magnetické rezonance nevyčytávají kontrastní látku gadolinium (Gd-negativní léze), což svědčí o tom, že onemocnění je v raném stadiu.

Cerebrální adrenoleukodystrofie je forma genetického onemocnění zvaného adrenoleukodystrofie, při kterém se v tkáních v celém těle, zejména v mozku, míše a nadledvinách (dvou žlázách umístěných nad ledvinami) hromadí tukové látky (tzv. mastné kyseliny s velmi dlouhým řetězcem). V případě cerebrální adrenoleukodystrofie hromadění těchto látek v mozku způsobuje zánět a poškození ochranného obalu (myelinu), který izoluje nervové buňky a pomáhá jim přenášet nervové signály.

Cerebrální adrenoleukodystrofie je vzácné onemocnění a přípravek Nezglyal byl označen dne 18. listopadu 2016 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“, a to k léčbě adrenoleukodystrofie. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na [internetových stránkách](#) agentury EMA.

Přípravek Nezglyal obsahuje léčivou látku leriglitzon.

Jak se přípravek Nezglyal používá?

Výdej přípravku Nezglyal je vázán na lékařský předpis. Léčbu by měl zahájit a sledovat lékař se zkušenostmi s léčbou onemocnění, při kterých buňky centrálního nervového systému přestávají fungovat nebo odumírají.

Přípravek je dostupný ve formě suspenze, která se užívá ústy jednou denně. Dávka závisí na výšce a tělesné hmotnosti dítěte.

Před zahájením léčby přípravkem Nezglyal a v jejím průběhu bude lékař provádět pravidelné krevní testy, aby ověřil, jak fungují játra pacienta. Pokud testy prokáží problémy s funkcí jater pacienta, může být nutné léčbu dočasně přerušit.

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



Více informací o používání přípravku Nezglyal naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Jak přípravek Nezglyal působí?

Léčivá látka v přípravku Nezglyal, leriglitzon, působí tak, že se váže na receptory (cíle) zvané „receptory PPAR-gama“, které se nacházejí v buňkách, včetně nervových buněk, a aktivuje je. Receptory PPAR-gama se podílejí na regulaci funkce mitochondrií (struktur uvnitř buněk, které vytvářejí energii), na tom, jak buňky reagují na oxidační stres (poškození způsobené škodlivými molekulami obsahujícími kyslík označovanými jako volné radikály), a na regulaci zánětu. Proto se očekává, že leriglitzon chrání nervové buňky před poškozením tím, že tlumí zánět, zlepšuje funkci mitochondrií a chrání nervové buňky před poškozením volnými radikály.

Jaké přínosy přípravku Nezglyal byly prokázány v průběhu studií?

Do hlavní studie bylo zařazeno 23 chlapců ve věku od 2 do 12 let s cerebrální adrenoleukodystrofií, a to s Gd-pozitivními, nebo Gd-negativními mozkovými lézemi. Všem pacientům byl přípravek Nezglyal podáván jako doplněk ke standardní péči, a pokud k ní byli způsobilí, také k transplantaci hematopoetických kmenových buněk provedené kdykoli v průběhu studie. Transplantace hematopoetických kmenových buněk je zákrok, při kterém jsou pacientovi podány kmenové buňky, které mají kostní dřeň pomáhat vytvářet zdravé krevní buňky. Přípravek Nezglyal nebyl srovnáván s žádnou jinou léčbou. Po 96 týdnech nebo do návštěvy před transplantací hematopoetických kmenových buněk bylo zhoršování onemocnění zastaveno u 35 % pacientů (u 7 z 20 pacientů, o nichž byly shromážděny dostatečné údaje) ve srovnání s očekávanými 10 % pacientů, u nichž by se zhoršování onemocnění zastavilo, pokud by bylo ponecháno přirozenému vývoji. Většina pacientů (6 ze 7), u kterých při léčbě přípravkem Nezglyal došlo k zastavení zhoršování onemocnění, měla na začátku léčby Gd-negativní mozkové léze.

Studie provedené s přípravkem Nezglyal jsou podrobněji popsány v hodnotící zprávě přípravku.

Jaké jsou nežádoucí účinky a omezení přípravku Nezglyal?

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

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Nezglyal (které mohou postihnout až 1 dítě z 10) jsou zvýšení tělesné hmotnosti, edém očních víček (otok způsobený zadržováním tekutin), leukopenie (nízké hladiny bílých krvinek) a neutropenie (nízké hladiny neutrofilů, což je typ bílých krvinek, které bojují s infekcemi).

Přípravek Nezglyal nesmí užívat osoby s přecitlivělostí (alergií) na léčivé přípravky obsahující thiazolidindion, které se používají k léčbě diabetu 2. typu. Nesmí jej užívat ani osoby, které mají nebo v minulosti měly srdeční selhání.

Na základě čeho byl přípravek Nezglyal registrován v EU?

V době schválení nebyly k léčbě pacientů s Gd-negativní cerebrální adrenoleukodystrofií, což je velmi vzácné a rychle se zhoršující onemocnění, registrovány žádné léčivé přípravky. Jedinou potenciální možností léčby progresivní (zhoršující se) cerebrální adrenoleukodystrofie (obvykle s Gd-pozitivními lézemi) je transplantace hematopoetických kmenových buněk.

Bylo prokázáno, že přípravek Nezglyal je účinný při zastavení zhoršování onemocnění u dětí s cerebrální adrenoleukodystrofií s Gd-negativními lézemi, což je rané stadium onemocnění, u něhož se očekává, že léčba bude z dlouhodobého hlediska nejprínosnější. Z hlediska bezpečnosti jsou nežádoucí účinky považovány za zvladatelné.

Evropská agentura pro léčivé přípravky při přijímání rozhodnutí zohlednila rovněž informace poskytnuté organizacemi pacientů a organizacemi zdravotnických pracovníků.

Agentura rozhodla, že přínosy přípravku Nezglyal převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Přípravek Nezglyal byl registrován za výjimečných okolností, neboť vzhledem k vysoké nenaplněné potřebě léčby cerebrální adrenoleukodystrofie a ke vzácné povaze tohoto onemocnění nebylo možné o přípravku Nezglyal získat úplné informace. Společnost musí poskytnout další údaje o přípravku Nezglyal. Musí předložit výsledky studie zkoumající jeho bezpečnost, jakož i výsledky studie založené na registru zkoumající dlouhodobou účinnost přípravku Nezglyal. Společnost musí rovněž každoročně předkládat aktuální informace o bezpečnosti a účinnosti tohoto přípravku. Agentura každoročně vyhodnotí jakékoli nové informace.

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

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

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

Další informace o přípravku Nezglyal

Další informace o přípravku Nezglyal, včetně příbalové informace a hodnotící zprávy, jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nezglyal.

Informace o dostupnosti tohoto přípravku ve vaší zemi vám poskytne [příslušný vnitrostátní orgán](#).