



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Aqneursa (*levacetylleucin*)

En oversigt over Aqneursa, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Aqneursa, og hvad anvendes det til?

Aqneursa er et lægemiddel, der anvendes til at behandle neurologiske symptomer (symptomer, der påvirker hjernen og nerverne) på Niemann-Pick type C-sygdom (NPC) hos voksne og børn på 6 år og derover, som vejer mindst 20 kg.

NPC er en arvelig sygdom, der påvirker kroppens evne til at transportere fedtstoffer inde i cellerne. Disse fedtstoffer ophobes med tiden i hjernecellerne og andre dele af nervesystemet, så cellerne holder op med at virke ordentligt og til sidst dør. Dette giver symptomer såsom problemer med balanceevne og bevægelighed, utydelig tale, synkebesvær og ukontrolleret rysten.

Aqneursa anvendes i kombination med miglustat, et andet lægemiddel til behandling af neurologiske symptomer på NPC. Det kan også anvendes som monoterapi, hvis behandling med miglustat har givet bivirkninger, der gør det uegnet for patienten.

NPC er sjælden, og Aqneursa blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 20. marts 2017. Yderligere information om lægemidler til sjældne sygdomme findes på EMA's [websted](#).

Aqneursa indeholder det aktive stof levacetylleucin.

Hvordan anvendes Aqneursa?

Aqneursa fås kun på recept. Lægemidlet findes som breve med granulat, der blandes med vand for at fremstille en suspension, der indtages gennem munden 2 til 3 gange dagligt. Suspensionen kan også gives via gastrostomisonde.

Dosen afhænger af patientens legemsvægt. Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Aqneursa, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Aqneursa?

NPC skyldes ændringer (mutationer) i gener, der giver instruktioner om dannelsen af proteinerne NPC1 og NPC2. Disse proteiner er normalt involveret i transporten af fedtstoffer fra lysosomer (små sække i kroppens celler, der fordøjer store molekyler såsom fedtstoffer) til andre dele af cellen. Hos personer med NPC fungerer NPC1 eller NPC2 ikke korrekt, hvilket fører til en ophobning af fedt i lysosomer, som er skadeligt for cellerne.

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



Det vides ikke nøjagtigt, hvordan det aktive stof i Aqneursa, levacetylleucin, virker. Dyrestudier tyder dog på, at det kan være med til at korrigere cellernes evne til at generere energi. Dette omfatter cellernes evne til at danne adenosintriphosphat, der er den vigtigste energikilde for celler i hjernen, der styrer bevægelighed og balanceevne.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Aqneursa?

I et hovedstudie blandt 60 voksne og børn på 6 år og derover, som vejede mindst 20 kg, resulterede behandling med Aqneursa i en forbedring af bevægelighed, koordineringsevne og evne til at udføre daglige opgaver, sammenlignet med placebo (en uvirksom behandling).

I studiet fik patienterne enten Aqneursa eller placebo i de første 12 uger; 51 af de 60 deltagere fik også behandling med miglustat. Efter denne periode byttede grupperne plads; patienter, der var blevet behandlet med Aqneursa, fik placebo, og dem, der havde fået placebo, fik Aqneursa i yderligere 12 uger. Virkningen blev hovedsageligt bedømt på var ændringen i skalaen for vurdering og bedømmelse af ataksi (SARA-scoren). SARA-scoren måler, i hvor høj grad en persons bevægelighed, koordinationsevne og evne til at udføre daglige opgaver er påvirket af ataksi (en tilstand, der forårsager tab af muskelkoordination). Skalaen går fra 0 (ingen ataksi) til 40 (svær ataksi); et fald i en persons score betyder, at deres symptomer forbedres.

Samlet set resulterede behandling med Aqneursa i et gennemsnitligt fald på ca. 2 point i SARA-scoren, sammenlignet med et fald på 0,6 med placebo. Derudover oplevede de, der fik Aqneursa og derefter skiftede til placebo, en forværring af deres SARA-score efter at have afbrudt behandlingen med lægemidlet.

Hvilke risici er der forbundet med Aqneursa?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Aqneursa fremgår af indlægssedlen.

Den mest almindelige bivirkning ved Aqneursa (som kan forekomme hos op til 1 ud af 10 personer) er flatulens (luft i maven).

Hvorfor er Aqneursa godkendt i EU?

NPC er en sjælden, livstruende tilstand med begrænsede behandlingsmuligheder. På tidspunktet for godkendelsen af Aqneursa var miglustat det eneste lægemiddel, der var godkendt til behandling af neurologiske symptomer på NPC.

Trods en vis måleusikkerhed i hovedstudiet, såsom den relativt korte behandlingsvarighed for et lægemiddel, der er beregnet til langvarig brug, medførte Aqneursa en forbedring af de neurologiske symptomer på NPC, herunder symptomer, der påvirker bevægelighed og koordinationsevne. Desuden oplevede de personer, der stoppede behandlingen, en betydelig forværring af deres symptomer. På tidspunktet for godkendelsen var den eneste bivirkning forbundet med Aqneursa flatulens.

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Aqneursa opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre, at Aqneursa anvendes sikkert og effektivt?

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at Aqneursa anvendes sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende anvendelsen af Aqneursa løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Aqneursa vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Øvrig information om Aqneursa

Aqneursa fik en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele EU den

Yderligere information om Aqneursa findes på agenturets websted:

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