



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nezglyal (*leriglitazon*)

En letlæselig oversigt over Nezglyal, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Nezglyal, og hvad anvendes det til?

Nezglyal er et lægemiddel til behandling af cerebral adrenoleukodystrofi hos drenge i alderen 2-12 år, som har milde eller ingen symptomer, baseret på en neurologisk funktionel score på 0 eller 1.

Det anvendes hos patienter, hvis hjernelæsioner ikke optager kontraststoffet gadolinium (Gd-negative læsioner) under MRI-hjernescanninger, hvilket tyder på, at sygdommen er i de tidlige stadier.

Cerebral adrenoleukodystrofi er en form af en arvelig sygdom kaldet adrenoleukodystrofi, hvor fedtstoffer kaldet "meget langkædede fedtsyrer" ophober sig i væv rundt om i kroppen, hovedsageligt i hjernen, rygmærven og binyrerne (to kirtler over nyrerne). Ved cerebral adrenoleukodystrofi bevirker en ophobning af disse stoffer i hjernen, at den beskyttende membran (myelin), som isolerer og hjælper med signaleringen via nervecellerne, bliver betændt og ødelagt.

Cerebral adrenoleukodystrofi er en sjælden sygdom, og Nezglyal blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 18. november 2016 til behandling af adrenoleukodystrofi. Der findes mere information om lægemidler til sjældne sygdomme på [EMA's websted](#).

Nezglyal indeholder det aktive stof leriglitazon.

Hvordan anvendes Nezglyal?

Nezglyal fås kun på recept, og behandlingen bør indledes og overvåges af en læge, der har erfaring med behandling af sygdomme, hvor celler i centralnervesystemet holder op med at virke eller dør.

Lægemidlet fås som en suspension, der indtages gennem munden én gang dagligt. Dosis afhænger af barnets højde og vægt.

Før behandlingen med Nezglyal tager lægen regelmæssigt blodprøver for at kontrollere, hvor godt patientens lever fungerer. Hvis prøverne viser problemer med patientens leverfunktion, kan det være nødvendigt midlertidigt at stoppe behandlingen.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Nezglyal, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

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



Hvordan virker Nezglyal?

Det aktive stof i Nezglyal, leriglitazon, virker ved at binde sig til og aktivere receptorer (mål) kaldet "PPAR-gammareceptorer", som findes inde i cellerne, herunder nervecellerne. PPAR-gammareceptorer medvirker til at regulere mitokondriernes funktion (energiproducerende strukturer i celler), hvordan cellerne reagerer på oxidativ stress (skader forårsaget af toksiske oxygenholdige molekyler kaldet frie radikaler) og betændelse. Leriglitazon forventes derfor at beskytte nervecellerne mod skader ved at mindske betændelsen, forbedre mitokondriernes funktion og beskytte mod skader fra frie radikaler.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Nezglyal?

Et hovedstudie omfattede 23 drenge i alderen 2-12 år med cerebral adrenoleukodystrofi, herunder drenge med Gd-positive eller Gd-negative hjernelæsioner. Alle patienter fik Nezglyal som tillægsbehandling til deres standardbehandling og, hvis de var egnede, hæmatopoietisk stamcelletransplantation (HSCT) på et hvilket som helst tidspunkt i løbet af studiet. HSCT er en procedure, hvor patienten modtager stamceller for at hjælpe knoglemarven med at producere sunde blodceller. Nezglyal blev ikke sammenlignet med en anden behandling. Efter 96 uger eller ved besøget før HSCT var sygdomsforværringen standset hos 35 % af patienterne (7 ud af 20, for hvilke der var indsamlet tilstrækkelige data) sammenlignet med et forventet tal for standsning af sygdomsforværringen på 10 %, hvis sygdommen skulle udvikle sig naturligt. De fleste af de patienter (6 ud af 7), hvor sygdomsforværringen var standset med Nezglyal, havde Gd-negative hjernelæsioner ved behandlingens start.

De gennemførte studier med Nezglyal er beskrevet nærmere i lægemidlets vurderingsrapport.

Hvilke bivirkninger og begrænsninger er der ved Nezglyal?

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

De mest almindelige bivirkninger ved Nezglyal (som kan forekomme hos op til 1 ud af 10 børn) er vægtforøgelse, ødem i øjenlåget (hævelse på grund af væskeophobning), leukopeni (lavt antal hvide blodlegemer) og neutropeni (lavt antal neutrofiler, en type hvide blodlegemer, der bekæmper infektion).

Nezglyal må ikke anvendes af personer, som er overfølsomme (allergiske) over for thiazolidindionholdige lægemidler, der anvendes til behandling af type 2-diabetes. Det må heller ikke anvendes af personer, som har eller tidligere har haft hjertesvigt.

Hvorfor er Nezglyal godkendt i EU?

På godkendelsestidspunktet var der ingen godkendte lægemidler til behandling af patienter med Gd-negativ cerebral adrenoleukodystrofi, en meget sjælden, hurtigt fremadskridende sygdom. Den eneste mulige behandlingsmulighed for progressiv (forværrende) cerebral adrenoleukodystrofi (normalt med Gd-positive læsioner) er HSCT.

Nezglyal har vist sig at være effektivt til at standse sygdomsprogression hos børn med cerebral adrenoleukodystrofi, som har Gd-negative læsioner, dvs. et tidligt sygdomsstadie, hvor behandlingen forventes at give den største langsigtede fordel. Hvad sikkerheden angår, anses bivirkningerne for at være håndterbare.

I sin afgørelse tog Det Europæiske Lægemiddelagentur også hensyn til input fra patientorganisationer og sundhedsfaglige organisationer.

Agenturet konkluderede, at fordelene ved Nezglyal opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Nezglyal er blevet godkendt under særlige omstændigheder. Dette skyldes, at der er et stort uopfyldt medicinsk behov for behandling af cerebral adrenoleukodystrofi, og at det ikke har været muligt at indhente fuldstændige oplysninger om Nezglyal på grund af sygdommens sjældenhed. Virksomheden skal fremlægge yderligere data om Nezglyal. Den skal fremlægge resultaterne af et studie af lægemidlets sikkerhed samt resultaterne af et registerbaseret studie af Nezglyals virkning på lang sigt. Virksomheden skal også fremlægge årlige opdateringer om eventuelle nye oplysninger om lægemidlets sikkerhed og virkning. Hvert år vil agenturet gennemgå alle nye oplysninger, der bliver tilgængelige.

Hvad gøres der for at sikre, at Nezglyal anvendes sikkert og effektivt?

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

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

Øvrig information om Nezglyal

Der findes mere information om Nezglyal, herunder indlægssedlen og vurderingsrapporten, på agenturets websted: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nezglyal.

Hvis du ønsker at vide, om lægemidlet er tilgængeligt i dit land, kan du kontakte den [nationale kompetente myndighed](#).