



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Aqneursa (*Levacetylleucin*)

Übersicht über Aqneursa und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Aqneursa und wofür wird es angewendet?

Aqneursa ist ein Arzneimittel zur Behandlung neurologischer Symptome (Symptome, die das Gehirn und die Nerven betreffen) der Niemann-Pick-Krankheit Typ C (NPC) bei Erwachsenen und Kindern ab 6 Jahren mit einem Körpergewicht von mindestens 20 kg.

NPC ist eine Erbkrankheit, welche die Fähigkeit des Körpers, Fette innerhalb der Zellen zu transportieren, beeinträchtigt. Im Laufe der Zeit sammeln sich diese Fette in Zellen des Gehirns und anderen Teilen des Nervensystems an, was dazu führt, dass die Zellen nicht mehr richtig arbeiten und schließlich absterben. Dies führt zu Symptomen wie Gleichgewichts-, Bewegungs- und Schluckproblemen, undeutlichem Sprechen und Zittern, die nicht kontrolliert werden können.

Aqneursa wird in Kombination mit Miglustat, einem anderen Arzneimittel zur Behandlung neurologischer Symptome von NPC, angewendet. Es kann auch allein angewendet werden, wenn die Behandlung mit Miglustat zu Nebenwirkungen geführt hat, die es für den Patienten ungeeignet machen.

NPC ist selten, und Aqneursa wurde am 20. März 2017 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zur Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie auf den [Internetseiten](#) der EMA.

Aqneursa enthält den Wirkstoff Levacetylleucin.

Wie wird Aqneursa angewendet?

Aqneursa ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich. Das Arzneimittel ist als Beuteln mit Granulat erhältlich, das mit Wasser gemischt wird, um eine Suspension herzustellen, die zwei- bis dreimal täglich einzunehmen ist. Die Suspension kann auch über eine Ernährungssonde verabreicht werden.

Die Dosis richtet sich nach dem Körpergewicht des Patienten. Weitere Informationen zur Anwendung von Aqneursa entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

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



Wie wirkt Aqneursa?

NPC wird durch Veränderungen (Mutationen) in Genen verursacht, die Anweisungen zur Bildung von Proteinen, die als NPC1 und NPC2 bezeichnet werden, liefern. Diese Proteine sind normalerweise am Transport von Fetten aus Lysosomen (kleinen Bläschen in den Zellen, die große Moleküle wie Fette abbauen) zu anderen Teilen der Zelle beteiligt. Bei Personen mit NPC funktionieren NPC1 oder NPC2 nicht richtig, was zu einer Ansammlung von Fett in Lysosomen führt, was wiederum schädlich für die Zellen ist.

Die genaue Funktionsweise des Wirkstoffs in Aqneursa, Levacetylleucin, ist nicht bekannt. Studien an Tieren deuten jedoch darauf hin, dass er dazu beitragen kann, die Fähigkeit der Zellen, Energie zu erzeugen, zu korrigieren. Dazu gehört die Fähigkeit der Zellen, Adenosintriphosphat zu bilden, die Hauptenergiequelle für Zellen im Gehirn, die Bewegung und Gleichgewicht kontrollieren.

Welchen Nutzen hat Aqneursa in den Studien gezeigt?

In einer Hauptstudie, an der 60 Erwachsene und Kinder ab 6 Jahren mit einem Körpergewicht von mindestens 20 kg teilnahmen, führte die Behandlung mit Aqneursa im Vergleich zu Placebo (einer Scheinbehandlung) zu einer Verbesserung ihrer Bewegungen, Koordination und Fähigkeit, alltägliche Aufgaben auszuführen.

In der Studie erhielten die Patienten in den ersten 12 Wochen entweder Aqneursa oder Placebo; 51 der 60 Teilnehmer erhielten auch eine Behandlung mit Miglustat. Nach diesem Zeitraum wechselten die Gruppen; die mit Aqneursa behandelten Patienten erhielten Placebo, und die Patienten, die Placebo erhalten hatten, erhielten 12 Wochen lang Aqneursa. Der Hauptindikator für die Wirksamkeit war die Veränderung der Skala für die Beurteilung und Bewertung der Ataxie (*Scale for the Assessment and Rating of Ataxia*, SARA). SARA misst, wie stark die Bewegung, die Koordination und die Fähigkeit einer Person zur Ausführung alltäglicher Aufgaben durch Ataxie (eine Erkrankung, die zu einem Verlust der Muskelkoordination führt) beeinträchtigt werden. Die Skala reicht von 0 (keine Ataxie) bis 40 (schwere Ataxie); eine Verringerung des Werts bei einer Person bedeutet, dass sich die Symptome bessern.

Insgesamt führte die Behandlung mit Aqneursa zu einer durchschnittlichen Verringerung des SARA-Werts um etwa 2 Punkte, verglichen mit einer Verringerung um 0,6 Punkte bei Placebo. Darüber hinaus verschlechterte sich nach dem Absetzen der Behandlung mit dem Arzneimittel der SARA-Wert bei denjenigen, die Aqneursa erhielten und dann auf Placebo umgestellt wurden.

Welche Risiken sind mit Aqneursa verbunden?

Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Aqneursa berichteten Nebenwirkungen und Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Eine sehr häufige Nebenwirkung von Aqneurosa (die bis zu 1 von 10 Behandelten betreffen kann) ist Flatulenz (Blähungen).

Warum wurde Aqneursa in der EU zugelassen?

NPC ist eine seltene lebensbedrohliche Erkrankung mit begrenzten Behandlungsmöglichkeiten. Zum Zeitpunkt der Zulassung von Aqneursa war Miglustat das einzige Arzneimittel, das für die Behandlung neurologischer Symptome von NPC zugelassen war.

Trotz einiger Unsicherheiten in der Hauptstudie, wie z. B. der relativ kurzen Behandlungsdauer bei einem Arzneimittel, das zur Langzeitanwendung bestimmt ist, führte Aqneursa zu Verbesserungen der neurologischen Symptome von NPC, einschließlich der Symptome, die die Bewegung und die

Koordination betrafen. Darüber hinaus verschlechterten sich die Symptome erheblich bei denjenigen, die die Behandlung abbrachen. Zum Zeitpunkt der Zulassung war die einzige Nebenwirkung im Zusammenhang mit Aqneurosa Flatulenz.

Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte daher zu dem Schluss, dass der Nutzen von Aqneursa gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Aqneursa ergriffen?

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Aqneursa, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Aqneursa kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Aqneursa werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Aqneursa

Aqneursa erhielt am ... eine Genehmigung für das Inverkehrbringen in der gesamten EU.

Weitere Informationen zu Aqneursa finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aqneursa.