



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Αqneursa (λεβακετυλολευκίνη)

Ανασκόπηση του Αqneursa και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Αqneursa και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Αqneursa είναι φάρμακο που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία νευρολογικών συμπτωμάτων (συμπτώματα που επηρεάζουν τον εγκέφαλο και τα νεύρα) της νόσου Niemann-Pick τύπου C (NPC) σε ενήλικες και παιδιά ηλικίας 6 ετών και άνω με σωματικό βάρος τουλάχιστον 20 kg.

Η NPC είναι μια κληρονομική νόσος που επηρεάζει την ικανότητα του οργανισμού να μεταφέρει λίπη στο εσωτερικό των κυττάρων. Με την πάροδο του χρόνου, τα λίπη αυτά συσσωρεύονται σε κύτταρα του εγκεφάλου και σε άλλα μέρη του νευρικού συστήματος, με αποτέλεσμα τα κύτταρα να σταματήσουν να λειτουργούν σωστά και τελικά να νεκρώνονται. Αυτό οδηγεί σε συμπτώματα όπως προβλήματα ισορροπίας, κίνησης και κατάποσης, ασαφή ομιλία και τρέμουλο που δεν μπορεί να ελεγχθεί.

Το Αqneursa χορηγείται σε συνδυασμό με τη μιγλουστάτη, ένα άλλο φάρμακο για τη θεραπεία των νευρολογικών συμπτωμάτων της NPC. Μπορεί επίσης να χορηγηθεί ως μονοθεραπεία εάν η θεραπεία με μιγλουστάτη έχει προκαλέσει ανεπιθύμητες ενέργειες που την καθιστούν ακατάλληλη για τον ασθενή.

Η NPC είναι σπάνια και το Αqneursa χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες παθήσεις) στις 20 Μαρτίου 2017. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε [στον δικτυακό τόπο](#) του EMA.

Το Αqneursa περιέχει τη δραστική ουσία λεβακετυλολευκίνη.

Πώς χρησιμοποιείται το Αqneursa;

Το Αqneursa χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή. Το φάρμακο διατίθεται σε μορφή φακελίσκων που περιέχουν κοκκία τα οποία αναμειγνύονται με νερό για την παρασκευή εναιωρήματος, το οποίο λαμβάνεται από το στόμα 2 έως 3 φορές την ημέρα. Το εναιώρημα μπορεί επίσης να χορηγείται μέσω σωλήνα σίτισης.

Η δόση εξαρτάται από το σωματικό βάρος του ασθενούς. Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Αqneursa, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

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



Πώς δρα το Aqneursa;

Η NPC προκαλείται από αλλαγές (μεταλλάξεις) σε γονίδια που παρέχουν οδηγίες για την παρασκευή πρωτεϊνών που ονομάζονται NPC1 και NPC2. Οι πρωτεΐνες αυτές συμμετέχουν συνήθως στη μεταφορά λιπών από λυσοσώματα (μικρά θυλάκια στα κύτταρα που διασπούν μεγάλα μόρια, όπως τα λίπη) σε άλλα μέρη του κυττάρου. Σε άτομα με NPC, η NPC1 ή η NPC2 δεν λειτουργούν σωστά, με αποτέλεσμα τη συσσώρευση λίπους στα λυσοσώματα, το οποίο είναι επιβλαβές για τα κύτταρα.

Ο ακριβής τρόπος με τον οποίο δρα η δραστική ουσία του Aqneursa, η λεβακετυλολευκίνη, δεν είναι γνωστός. Ωστόσο, μελέτες σε ζώα υποδηλώνουν ότι η ουσία αυτή μπορεί να συμβάλει στη διόρθωση της ικανότητας των κυττάρων να παράγουν ενέργεια. Η ικανότητα αυτή συμπεριλαμβάνει την ικανότητα των κυττάρων να παράγουν τριφωσφορική αδενοσίνη, την κύρια πηγή ενέργειας για τα κύτταρα του εγκεφάλου που ελέγχουν την κίνηση και την ισορροπία.

Ποια είναι τα οφέλη του Aqneursa σύμφωνα με τις μελέτες;

Σε μια κύρια μελέτη στην οποία μετείχαν 60 ενήλικες και παιδιά ηλικίας 6 ετών και άνω με σωματικό βάρος τουλάχιστον 20 kg, η θεραπεία με Aqneursa είχε ως αποτέλεσμα τη βελτίωση της κίνησης, του συντονισμού και της ικανότητάς τους να εκτελούν καθημερινές εργασίες σε σύγκριση με το εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία).

Στη μελέτη, οι ασθενείς έλαβαν είτε Aqneursa είτε εικονικό φάρμακο για τις πρώτες 12 εβδομάδες. Σε 51 από τους 60 συμμετέχοντες συγχωρηγήθηκε επίσης μιγλουστάτη. Μετά την περίοδο αυτή, οι ομάδες αντιστράφηκαν και οι ασθενείς που λάμβαναν Aqneursa έλαβαν εικονικό φάρμακο και οι ασθενείς που λάμβαναν εικονικό φάρμακο έλαβαν Aqneursa για άλλες 12 εβδομάδες. Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν η αλλαγή στην κλίμακα αξιολόγησης και βαθμολόγησης της αταξίας (SARA). Η βαθμολογία SARA μετρά τον βαθμό στον οποίο οι κινήσεις, ο συντονισμός και η ικανότητα ενός ατόμου να εκτελεί καθημερινές εργασίες επηρεάζονται από την αταξία (πάθηση που προκαλεί απώλεια του συντονισμού των μυών). Η κλίμακα κυμαίνεται από το 0 (καμία αταξία) έως το 40 (βαριά μορφή αταξία). Η μείωση της βαθμολογίας ενός ατόμου σημαίνει ότι τα συμπτώματά του βελτιώνονται.

Συνολικά, η θεραπεία με Aqneursa οδήγησε σε μέση μείωση περίπου 2 βαθμών στη βαθμολογία SARA, σε σύγκριση με τη μείωση 0,6 βαθμών που επιτεύχθηκε με το εικονικό φάρμακο. Επιπλέον, όσοι έλαβαν Aqneursa και στη συνέχεια μετέβησαν σε εικονικό φάρμακο εμφάνισαν επιδείνωση της βαθμολογίας SARA μετά τη διακοπή της θεραπείας με το φάρμακο.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Aqneursa;

Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών που αναφέρθηκαν με το Aqneursa περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Η πιο συχνή ανεπιθύμητη ενέργεια του Aqneursa (ενδέχεται να παρατηρηθεί σε έως και 1 στους 10 ασθενείς) είναι ο μετεωρισμός (αέρια).

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Aqneursa στην ΕΕ;

Η NPC είναι μια σπάνια, απειλητική για τη ζωή πάθηση με περιορισμένες θεραπευτικές επιλογές. Κατά τον χρόνο της έγκρισης του Aqneursa, το μόνο φάρμακο που είχε εγκριθεί για τη θεραπεία των νευρολογικών συμπτωμάτων της NPC ήταν η μιγλουστάτη.

Παρά την ύπαρξη ορισμένων αβεβαιοτήτων στην κύρια μελέτη, όπως η σχετικά σύντομη διάρκεια της θεραπείας για ένα φάρμακο που προορίζεται για μακροχρόνια χρήση, το Aqneursa είχε ως αποτέλεσμα τη βελτίωση των νευρολογικών συμπτωμάτων της NPC, συμπεριλαμβανομένων εκείνων που επηρεάζουν

την κίνηση και τον συντονισμό. Επιπλέον, τα άτομα που διέκοψαν τη θεραπεία εμφάνισαν σημαντική επιδείνωση των συμπτωμάτων τους. Κατά τον χρόνο της έγκρισης, η μόνη ανεπιθύμητη ενέργεια που συνδεόταν με το Aqneursa ήταν ο μετεωρισμός.

Ως εκ τούτου, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων αποφάσισε ότι τα οφέλη του Aqneursa υπερτερούν των διαπιστωθέντων κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Aqneursa;

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Aqneursa.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Aqneursa τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι πιθανολογούμενες ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Aqneursa θα αξιολογούνται προσεκτικά και θα λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Aqneursa

Το Aqneursa έλαβε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την ΕΕ, στις

Περισσότερες πληροφορίες για το Aqneursa διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aqneursa.