



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nezgylal (λεριγλιταζόνη)

Ανασκόπηση του Nezgylal σε απλή γλώσσα και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Nezgylal και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Nezgylal είναι φάρμακο που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία της εγκεφαλικής αδρενολευκοδυστροφίας σε αγόρια ηλικίας 2 έως 12 ετών που εμφανίζουν ήπια συμπτώματα ή δεν εμφανίζουν καθόλου συμπτώματα, με βάση νευρολογική βαθμολογία λειτουργικότητας 0 ή 1.

Χορηγείται σε ασθενείς των οποίων οι εγκεφαλικές βλάβες δεν απορροφούν το σκιαγραφικό μέσο γαδολίνιο (αρνητικές για Gd βλάβες) κατά τη διάρκεια μαγνητικών τομογραφιών εγκεφάλου, γεγονός που υποδηλώνει ότι η νόσος βρίσκεται σε πρώιμο στάδιο.

Η εγκεφαλική αδρενολευκοδυστροφία είναι μια μορφή μιας γενετικής νόσου που ονομάζεται αδρενολευκοδυστροφία κατά την οποία λιπαρές ουσίες γνωστές ως «λιπαρά οξέα πολύ μακράς αλύσου» συσσωρεύονται σε ιστούς του σώματος, κυρίως στον εγκέφαλο, τον νωτιαίο μυελό και τα επινεφρίδια (δύο αδένες που βρίσκονται πάνω από τους νεφρούς). Στην εγκεφαλική αδρενολευκοδυστροφία, η συσσώρευση αυτών των ουσιών στον εγκέφαλο προκαλεί φλεγμονή και καταστροφή του προστατευτικού περιβλήματος (μυελίνη) που μονώνει και βοηθά στη μετάδοση σημάτων από τα νευρικά κύτταρα.

Η εγκεφαλική αδρενολευκοδυστροφία είναι «σπάνια» και το Nezgylal χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες παθήσεις) στις 18 Νοεμβρίου 2016 για τη θεραπεία της αδρενολευκοδυστροφίας. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε [στον δικτυακό τόπο](#) του EMA.

Το Nezgylal περιέχει τη δραστική ουσία λεριγλιταζόνη.

Πώς χρησιμοποιείται το Nezgylal;

Το Nezgylal χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή. Η έναρξη και η παρακολούθηση της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιούνται από γιατρό με εμπειρία στη διαχείριση νόσων κατά τις οποίες τα κύτταρα του κεντρικού νευρικού συστήματος σταματούν να λειτουργούν ή πεθαίνουν.

Το φάρμακο διατίθεται υπό μορφή εναιωρήματος που χορηγείται από το στόμα μία φορά την ημέρα. Η δόση εξαρτάται από το ύψος και το σωματικό βάρος του παιδιού.

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



Πριν από την έναρξη της θεραπείας με Nezglyal και κατά τη διάρκειά της, ο γιατρός θα διενεργεί τακτικές αιματολογικές εξετάσεις για να ελέγχει την καλή λειτουργία του ήπατος του ασθενούς. Μπορεί να χρειαστεί να διακοπεί προσωρινά η θεραπεία εάν οι εξετάσεις δείξουν προβλήματα στην ηπατική λειτουργία του ασθενούς.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Nezglyal, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Πώς δρα το Nezglyal;

Η δραστική ουσία του Nezglyal, η λεριγλιταζόνη, δρα μέσω της προσκόλλησης και της ενεργοποίησης των υποδοχέων (στόχων) που ονομάζονται «υποδοχείς PPAR-γ», οι οποίοι βρίσκονται εντός των κυττάρων, συμπεριλαμβανομένων των νευρικών κυττάρων. Οι υποδοχείς PPAR-γ διαδραματίζουν ρόλο στη ρύθμιση της λειτουργίας των μιτοχονδρίων (δομές παραγωγής ενέργειας στα κύτταρα), στον τρόπο με τον οποίο τα κύτταρα ανταποκρίνονται στο οξειδωτικό στρες (βλάβη που προκαλείται από τοξικά μόρια που περιέχουν οξυγόνο, γνωστά ως ελεύθερες ρίζες) και στη φλεγμονή. Ως εκ τούτου, η λεριγλιταζόνη αναμένεται να προστατεύσει τα νευρικά κύτταρα από βλάβες μέσω της μείωσης της φλεγμονής, της βελτίωσης της λειτουργίας των μιτοχονδρίων και της προστασίας από βλάβες από ελεύθερες ρίζες.

Ποια είναι τα οφέλη του Nezglyal σύμφωνα με τις μελέτες;

Σε μια κύρια μελέτη μετείχαν 23 αγόρια ηλικίας 2 έως 12 ετών με εγκεφαλική αδρενολευκοδυστροφία, περιλαμβανομένων των αγοριών με εγκεφαλικές βλάβες θετικές για γαδολίνιο ή αρνητικές για γαδολίνιο. Όλοι οι ασθενείς έλαβαν Nezglyal, επιπλέον της συνήθους θεραπείας τους και, εάν ήταν επιλέξιμοι, μεταμόσχευση αιμοποιητικών κυττάρων (HSCT), οποιαδήποτε στιγμή κατά τη διάρκεια της μελέτης. Η HSCT είναι μια διαδικασία κατά την οποία ο ασθενής λαμβάνει βλαστοκύτταρα για τη διέγερση του μυελού των οστών ώστε να παράγει υγιή αιμοσφαίρια. Το Nezglyal δεν συγκρίθηκε με άλλη θεραπεία. Μετά από 96 εβδομάδες ή έως την επίσκεψη πριν από την HSCT, η επιδείνωση της νόσου σταθεροποιήθηκε (διακόπηκε) στο 35 % των ασθενών (7 από τους 20 ασθενείς για τους οποίους είχαν συλλεχθεί επαρκή δεδομένα), σε σύγκριση με αναμενόμενο ποσοστό σταθεροποίησης της νόσου της τάξης του 10 % εάν η νόσος εξελισσόταν φυσιολογικά. Οι περισσότεροι από τους ασθενείς (6 από τους 7) που είχαν σταθεροποίηση της νόσου με Nezglyal εμφάνισαν εγκεφαλικές βλάβες αρνητικές για γαδολίνιο κατά την έναρξη της θεραπείας.

Οι μελέτες που διεξήχθησαν με το Nezglyal περιγράφονται λεπτομερέστερα στην έκθεση αξιολόγησης του φαρμάκου.

Ποιες είναι οι ανεπιθύμητες ενέργειες και οι περιορισμοί του Nezglyal;

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

Οι πιο συχνές ανεπιθύμητες ενέργειες με το Nezglyal (ενδέχεται να εμφανιστούν σε έως και 1 στα 10 παιδιά) είναι αυξημένο σωματικό βάρος, οίδημα των βλεφάρων (οίδημα λόγω κατακράτησης υγρών), λευκοπενία (χαμηλά επίπεδα λευκών αιμοσφαιρίων) και ουδετεροπενία (χαμηλά επίπεδα ουδετερόφιλων, ενός τύπου λευκών αιμοσφαιρίων που καταπολεμούν τις λοιμώξεις).

Το Nezglyal δεν πρέπει να χορηγείται σε άτομα που παρουσιάζουν υπερευαισθησία (αλλεργία) σε φάρμακα που περιέχουν θειαζολιδινεδιόνη, τα οποία χρησιμοποιούνται για τη θεραπεία του διαβήτη τύπου 2. Επίσης, δεν πρέπει να χορηγείται σε άτομα που πάσχουν ή έπασχαν στο παρελθόν από καρδιακή ανεπάρκεια.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Nezglyal στην ΕΕ;

Κατά τον χρόνο της έγκρισης, δεν υπήρχαν εγκεκριμένα φάρμακα για τη θεραπεία ασθενών με εγκεφαλική αδρενολευκοδυστροφία αρνητική για γαδολίνιο, μια πολύ σπάνια, ταχέως εξελισσόμενη νόσο. Η μόνη πιθανή θεραπευτική επιλογή για την προοδευτική (που εμφανίζει επιδείνωση) εγκεφαλική αδρενολευκοδυστροφία (συνήθως με αλλοιώσεις θετικές για γαδολίνιο) είναι η HSCT.

Το Nezglyal αποδείχθηκε αποτελεσματικό στην ανάλυση της εξέλιξης της νόσου σε παιδιά με εγκεφαλική αδρενολευκοδυστροφία τα οποία εμφανίζουν αλλοιώσεις αρνητικές για γαδολίνιο, ένα πρώιμο στάδιο της νόσου κατά το οποίο η θεραπεία αναμένεται να προσφέρει το μεγαλύτερο μακροπρόθεσμο όφελος. Σε ό,τι αφορά την ασφάλεια, οι ανεπιθύμητες ενέργειες θεωρούνται διαχειρίσιμες.

Κατά τη λήψη της απόφασής του, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έλαβε επίσης υπόψη τις παρατηρήσεις των οργανώσεων ασθενών και των επαγγελματικών οργανώσεων του τομέα της υγείας.

Ο Οργανισμός έκρινε ότι τα οφέλη του Nezglyal υπερτερούν των διαπιστωθέντων κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση της χρήσης του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Το Nezglyal εγκρίθηκε με τη διαδικασία των «εξαιρετικών περιστάσεων». Διότι, λόγω της σπανιότητας της ασθένειας, υπάρχει μεγάλη ανικανοποίητη ιατρική ανάγκη για τη θεραπεία της εγκεφαλικής αδρενολευκοδυστροφίας και δεν ήταν δυνατή η συγκέντρωση ολοκληρωμένων πληροφοριών για το Nezglyal. Η εταιρεία υποχρεούται να προσκομίσει περαιτέρω στοιχεία σχετικά με το Nezglyal. Πρέπει να υποβάλει τα αποτελέσματα μιας μελέτης που εξετάζει την ασφάλεια του φαρμάκου, καθώς και τα αποτελέσματα μιας μελέτης μητρώου σχετικά με τη μακροπρόθεσμη αποτελεσματικότητα του Nezglyal. Η εταιρεία υποχρεούται επίσης να παρέχει ετήσιες ενημερώσεις σχετικά με τυχόν νέες πληροφορίες που αφορούν την ασφάλεια και την αποτελεσματικότητα του φαρμάκου. Ο Οργανισμός θα αξιολογεί ετησίως κάθε νέα πληροφορία που θα είναι διαθέσιμη.

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

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 Nezglyal.

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

Λοιπές πληροφορίες για το Nezglyal

Περισσότερες πληροφορίες για το Nezglyal, καθώς και το φύλλο οδηγιών χρήσης και η έκθεση αξιολόγησης, διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nezglyal.

Για πληροφορίες σχετικά με τη διαθεσιμότητα του φαρμάκου αυτού στη χώρα σας, επικοινωνήστε με την [εθνική αρμόδια αρχή](#).