



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Aqneursa (*levacetileucina*)

Información general sobre Aqneursa y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Aqneursa y para qué se utiliza?

Aqneursa es un medicamento que se utiliza para tratar los síntomas neurológicos (síntomas que afectan al cerebro y a los nervios) de la variedad C de la enfermedad de Niemann-Pick en adultos y niños a partir de 6 años que pesen al menos 20 kg.

La variedad C de la enfermedad de Niemann-Pick es una enfermedad hereditaria que afecta a la capacidad del organismo para transportar grasas dentro de las células. Con el tiempo, estas grasas se acumulan en las células del cerebro y en otras partes del sistema nervioso, lo que hace que las células dejen de funcionar correctamente y finalmente mueran. Esto provoca síntomas como problemas de equilibrio, movimiento y deglución, falta de claridad en el habla y temblores incontrolables.

Aqneursa se utiliza en combinación con miglustat, otro medicamento para el tratamiento de los síntomas neurológicos de la variedad C de la enfermedad de Niemann-Pick. También puede utilizarse en monoterapia si el tratamiento con miglustat ha causado efectos adversos que lo hacen inadecuado para el paciente.

La variedad C de la enfermedad de Niemann-Pick es una enfermedad «rara», y Aqneursa fue designado «medicamento huérfano» (un medicamento utilizado para tratar enfermedades raras) el 20 de marzo de 2017. Puede encontrar más información sobre la designación de medicamento huérfano en la [página web](#) de la EMA.

Aqneursa contiene el principio activo levacetileucina.

¿Cómo se usa Aqneursa?

Aqneursa solo se podrá dispensar con receta médica. El medicamento se presenta en sobres que contienen un granulado que debe mezclarse con agua para preparar una suspensión, que debe tomarse por vía oral 2 o 3 veces al día. La suspensión también puede administrarse mediante una sonda de alimentación.

La dosis se calcula en función del peso del paciente. Si desea más información sobre el uso de Aqneursa, lea el prospecto o consulte a su médico o farmacéutico.

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



¿Cómo actúa Aqneursa?

La variedad C de la enfermedad de Niemann-Pick está causada por cambios (mutaciones) en los genes que proporcionan las instrucciones para producir unas proteínas llamadas NPC1 y NPC2. Estas proteínas intervienen normalmente en el transporte de grasas desde los lisosomas (pequeños sacos presentes en las células que descomponen moléculas grandes, como las grasas) a otras partes de la célula. En las personas con variedad C de la enfermedad de Niemann-Pick, las proteínas NPC1 o NPC2 no funcionan correctamente, lo que provoca una acumulación de grasa en los lisosomas que resulta perjudicial para las células.

Se desconoce exactamente cómo funciona el principio activo de Aqneursa, la levacetileucina. Sin embargo, los estudios realizados en animales indican que podría ayudar a corregir la capacidad de las células para generar energía. Esto incluye la capacidad de las células para producir trifosfato de adenosina, la principal fuente de energía de las células del cerebro que controlan el movimiento y el equilibrio.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Aqneursa en los estudios realizados?

En un estudio principal en el que participaron 60 adultos y niños a partir de 6 años que pesaban al menos 20 kg, el tratamiento con Aqneursa mejoró el movimiento, la coordinación y la capacidad para realizar tareas cotidianas en comparación con un placebo (un tratamiento ficticio).

En el estudio, los pacientes recibieron Aqneursa o placebo durante las primeras 12 semanas; 51 de los 60 participantes también estaban recibiendo tratamiento con miglustat. Después de este período, los grupos cambiaron de tratamiento; a los pacientes que habían recibido Aqneursa se les administró placebo y a los que habían recibido placebo se les administró Aqneursa durante otras 12 semanas. El criterio principal de valoración de la eficacia fue la variación en la puntuación obtenida en escala de evaluación de la ataxia (SARA). La escala SARA mide en qué medida el movimiento, la coordinación y la capacidad de una persona para llevar a cabo las tareas cotidianas se ven afectados por la ataxia (un trastorno que provoca una pérdida de la coordinación muscular). La escala va de 0 (ausencia de ataxia) a 40 (ataxia grave); una disminución en la puntuación de una persona significa que sus síntomas están mejorando.

En general, el tratamiento con Aqneursa dio lugar a una reducción media de unos 2 puntos en la escala SARA, en comparación con una reducción de 0,6 puntos con el placebo. Además, los pacientes que primero recibieron Aqneursa y luego cambiaron al placebo mostraron un empeoramiento en la escala SARA después de suspender el tratamiento con el medicamento.

¿Cuáles son los riesgos asociados a Aqneursa?

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Aqneursa se puede consultar en el prospecto.

El efecto adverso más frecuente de Aqneursa (puede afectar hasta a 1 de cada 10 pacientes) es la flatulencia (gases).

¿Por qué se ha autorizado Aqneursa en la UE?

La variedad C de la enfermedad de Niemann-Pick es una enfermedad rara y potencialmente mortal, con opciones de tratamiento limitadas. En el momento de la aprobación de Aqneursa, el único fármaco autorizado para el tratamiento de los síntomas neurológicos de la variedad C de la enfermedad de Niemann-Pick era el miglustat.

A pesar de algunas incertidumbres en el estudio principal, como la duración relativamente corta del tratamiento con un medicamento destinado a un uso a largo plazo, Aqneursa mejoró los síntomas neurológicos de la variedad C de la enfermedad de Niemann-Pick, incluidos los que afectan al movimiento y la coordinación. Además, los pacientes que suspendieron el tratamiento presentaron un empeoramiento significativo de los síntomas. En el momento de la aprobación, el único efecto adverso asociado a Aqneursa era la flatulencia.

La Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Aqneursa eran mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Aqneursa?

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Aqneursa se han incluido en la ficha técnica o resumen de las características del producto y en el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Aqneursa se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados de Aqneursa se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Aqneursa

Aqneursa recibió una autorización de comercialización válida en toda la UE el

Puede encontrar más información sobre Aqneursa en la página web de la Agencia:

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