



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nezglyal (*leriglitzona*)

Información general en lenguaje claro sobre Nezglyal y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Nezglyal y para qué se utiliza?

Nezglyal es un medicamento que se utiliza para tratar la adrenoleucodistrofia cerebral en varones de 2 a 12 años de edad que presentan síntomas leves o nulos, con una puntuación funcional neurológica de 0 o 1.

Se utiliza en pacientes cuyas lesiones cerebrales no se realzan con el medio de contraste gadolinio (es decir, lesiones negativas al Gd) en la resonancia magnética (RM) cerebral, lo que indica que la enfermedad se encuentra en las fases iniciales.

La adrenoleucodistrofia cerebral es una forma de una enfermedad hereditaria denominada «adrenoleucodistrofia», en la que las sustancias grasas conocidas como «ácidos grasos de cadena muy larga» se acumulan en tejidos de todo el organismo, principalmente en el cerebro, la médula espinal y las glándulas suprarrenales (dos glándulas situadas encima de los riñones). En la adrenoleucodistrofia cerebral, la acumulación de estas sustancias en el cerebro provoca inflamación y destrucción de la vaina protectora (mielina) que aísla las células nerviosas y facilita la transmisión de señales entre ellas.

La adrenoleucodistrofia cerebral es una enfermedad rara, y Nezglyal fue designado «medicamento huérfano» (un medicamento utilizado para tratar enfermedades raras) el 18 de noviembre de 2016 para el tratamiento de la adrenoleucodistrofia. Puede encontrar más información sobre la designación de medicamento huérfano en el [sitio web](#) de la EMA.

Nezglyal contiene el principio activo leriglitzona.

¿Cómo se usa Nezglyal?

Nezglyal solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento debe iniciarlo y supervisarlo un médico con experiencia en el tratamiento de enfermedades en las que las células del sistema nervioso central dejan de funcionar o mueren.

El medicamento se presenta en forma de suspensión que debe tomarse por vía oral una vez al día. La dosis se calcula en función de la estatura y el peso del niño.

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



Antes de iniciar el tratamiento con Nezglyal y durante el mismo, el médico realizará análisis de sangre periódicos para comprobar el funcionamiento del hígado del paciente. Es posible que tenga que interrumpir temporalmente el tratamiento si las pruebas muestran problemas con la función hepática del paciente.

Si desea más información sobre el uso de Nezglyal, lea el prospecto o consulte a su médico o farmacéutico.

¿Cómo actúa Nezglyal?

El principio activo de Nezglyal, la leriglitzona, actúa uniéndose y activando receptores (dianas) denominados «receptores PPAR gamma», que se encuentran en el interior de las células, incluidas las neuronas. Los receptores PPAR gamma intervienen en la regulación de la función de las mitocondrias (estructuras encargadas de generar energía en las células), en la respuesta de las células al estrés oxidativo (daño causado por moléculas tóxicas que contienen oxígeno conocidas como «radicales libres») y en la inflamación. Por lo tanto, se espera que la leriglitzona proteja a las células nerviosas frente a los daños al reducir la inflamación, mejorar la función de las mitocondrias y prevenir el daño provocado por los radicales libres.

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

En un estudio principal participaron 23 niños varones de entre 2 y 12 años de edad con adrenoleucodistrofia cerebral, incluidos los que presentaban lesiones cerebrales Gd positivas o Gd negativas. Todos los pacientes recibieron Nezglyal además de su tratamiento habitual y, si eran aptos, un trasplante de células madre hematopoyéticas (TCMH) en cualquier momento durante el estudio. El TCMH es un procedimiento en el que el paciente recibe células madre para ayudar a la médula ósea a producir células sanguíneas sanas. Nezglyal no se comparó con otro tratamiento. Al cabo de 96 semanas o en la visita anterior al TCMH, se detuvo (interrumpió) el empeoramiento de la enfermedad en el 35 % de los pacientes (7 de 20 para los que se habían recogido datos suficientes), en comparación con una tasa prevista de detención de la enfermedad del 10 % si se hubiera dejado que la enfermedad avanzara de forma natural. La mayoría de los pacientes (6 de 7) cuya enfermedad se detuvo con Nezglyal presentaron lesiones cerebrales Gd negativas al inicio del tratamiento.

Los estudios realizados con Nezglyal se describen con más detalle en el informe de evaluación del medicamento.

¿Cuáles son los efectos adversos y las restricciones de Nezglyal?

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

Los efectos adversos más frecuentes de Nezglyal (pueden afectar hasta a 1 de cada 10 niños) son aumento de peso, edema del párpado (hinchazón debido a la retención de líquidos), leucopenia (niveles bajos de glóbulos blancos) y neutropenia (niveles bajos de neutrófilos, un tipo de glóbulo blanco que combate las infecciones).

Nezglyal no debe ser utilizado por personas con hipersensibilidad (alergia) a los medicamentos que contienen tiazolidindiona, que se utilizan para tratar la diabetes de tipo 2. Tampoco debe ser utilizado por personas que tengan o hayan tenido previamente insuficiencia cardíaca.

¿Por qué se ha autorizado Nezglyal en la UE?

En el momento de la aprobación, no había medicamentos autorizados para tratar a pacientes con adrenoleucodistrofia cerebral Gd negativa, una enfermedad muy rara que progresa rápidamente. La única posible opción de tratamiento para la adrenoleucodistrofia cerebral (generalmente con lesiones Gd positivas) progresiva (empeoramiento) es el TCMH.

Nezglyal ha demostrado ser eficaz para detener la progresión de la enfermedad en niños con adrenoleucodistrofia cerebral que presentan lesiones Gd negativas, una fase temprana de la enfermedad en la que se espera que el tratamiento ofrezca el mayor beneficio a largo plazo. En términos de seguridad, los efectos adversos se consideran controlables.

Para tomar esta decisión, la Agencia Europea de Medicamentos también tuvo en cuenta las aportaciones de las organizaciones de pacientes y de profesionales sanitarios.

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

Nezglyal se autorizó en circunstancias excepcionales. Esto se debe a que existe una gran necesidad médica no satisfecha para el tratamiento de la adrenoleucodistrofia cerebral y no fue posible obtener información completa sobre Nezglyal debido a la rareza de la enfermedad. La compañía deberá proporcionar más datos sobre Nezglyal. Deberá presentar los resultados de un estudio que examine la seguridad del medicamento, así como los resultados de un estudio basado en registros sobre la eficacia a largo plazo de Nezglyal. La compañía también deberá proporcionar actualizaciones anuales sobre cualquier nueva información relativa a la seguridad y la eficacia del medicamento. La Agencia revisará anualmente la información nueva que esté disponible.

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

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Nezglyal 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 Nezglyal se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados de Nezglyal se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Nezglyal

Puede encontrar más información sobre Nezglyal , incluidos el prospecto y el informe de evaluación, en el sitio web de la Agencia: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nezglyal.

Si desea obtener información sobre la disponibilidad de este medicamento en su país, póngase en contacto con la [autoridad nacional competente](#) correspondiente.