



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Aqneursa (*levatsetüülleutsiin*)

Ülevaade ravimist Aqneursa ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Aqneursa ja milleks seda kasutatakse?

Aqneursa on ravim, mida kasutatakse C-tüüpi Niemanni-Picki tõve neuroloogiliste sümptomite (aju- ja närvisümptomite) raviks täiskasvanutel ja vähemalt 6-aastastel lastel, kes kaaluvad vähemalt 20 kg.

Niemanni-Picki tõbi on pärilik haigus, mis mõjutab organismi võimet transportida rasvu rakkudes. Aja jooksul kogunevad need rasvad ajurakkudes ja muudesse närvisüsteemi osadesse, mistõttu rakud lakkavad nõuetekohaselt töötamast ja lõpuks surevad. See põhjustab selliseid sümptomeid nagu tasakaalu-, liikumis- ja neelamisprobleemid, ebaselge kõne ja kontrollimatu värisemine.

Aqneursat kasutatakse koos miglustaadiga, mis on samuti C-tüüpi Niemanni-Picki tõve neuroloogiliste sümptomite ravim. Aqneursat tohib kasutada ka ainuravimina, kui ravi miglustaadiga on põhjustanud kõrvalnähte, mis muudavad selle patsiendile sobimatuks.

C-tüüpi Niemanni-Picki tõbi esineb harva ja Aqneursa nimetati 20. märtsil 2017 harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetamise kohta on EMA [veebilehel](#).

Aqneursa sisaldab toimeainet levatsetüülleutsiini.

Kuidas Aqneursat kasutatakse?

Aqneursa on retseptiravim. Ravimit turustatakse kotikestena, mis sisaldavad graanuleid, mis segatakse veega suspensiooni valmistamiseks ja mida võetakse suu kaudu 2–3 korda ööpäevas. Suspensiooni tohib manustada ka toitmissondi kaudu.

Annus sõltub patsiendi kehamassist. Lisateavet Aqneursa kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

Kuidas Aqneursa toimib?

C-tüüpi Niemanni-Picki tõbe põhjustavad muutused (mutatsioonid) geenides, mis sisaldavad juhiseid valkude NPC1 ja NPC2 tekkeks. Need valgud osalevad tavaliselt rasvade transportimises lüsoosoomides (väikesed kotikesed rakkudes, kus lagundatakse suuri molekule, näiteks rasvu) raku muudesse osadesse. C-tüüpi Niemanni-Picki tõvega patsientidel ei toimi NPC1 või NPC2 nõuetekohaselt, mis põhjustab rasva ladestumist lüsoosoomides, mis on rakkudele kahjulik.

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



Aqneursa toimeaine levatsetüüleutsiini täpne toimemehhanism ei ole teada. Loomuuringud näitavad siiski, et see võib aidata parandada rakkude energiatootmisvõimet. See hõlmab rakkude võimet valmistada adenosiintrifosfaati, mis on peamine energiaallikas ajurakkudele, mis reguleerivad liikumist ja tasakaalu.

Mis on uuringute põhjal Aqneursa kasulikkus?

Põhiuuringus, milles osales 60 täiskasvanut ja vähemalt 6-aastast last, kelle kehamass oli vähemalt 20 kg, parandas ravi Aqneursaga osalejate liikumist, koordinatsiooni ning igapäevaste toimingute sooritamise võimet võrreldes platseeboga (näiv ravim).

Uuringus manustati patsientidele esimese 12 nädala jooksul kas Aqneursat või platseebot; 60 osalejast 51 said ka miglustaati. Pärast seda vahetati rühmad; Aqneursaga ravitud patsiendid said platseebot ja platseebot kasutanud patsiendid Aqneursat veel 12 nädalat. Efektiivsuse põhinäitaja oli muutus ataksia punktisumma hindamiskaalal (SARA). SARA-skoor mõõdab, kui palju mõjutab ataksia (lihaste koordinatsioonihäiret põhjustav seisund) inimese liikumist, koordinatsiooni ja suutlikkust täita igapäevaseid ülesandeid. Skaala ulatus on 0 (ataksiata) kuni 40 (raske ataksia); skoori vähenemine tähendab, et sümptomid leevenevad.

Üldiselt vähendas Aqneursa-ravi SARA-skoori keskmiselt ligikaudu 2 punkti võrra ja platseebo 0,6 punkti võrra. Lisaks halvenes SARA-skoor algselt Aqneursat saanud ja seejärel platseebole üle läinud patsientidel pärast ravimiga ravi lõpetamist.

Mis on Aqneursa riskid?

Aqneursa kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Aqneursa kõige sagedam kõrvalnäht (võib esineda kuni 1 patsiendil 10st) on kõhupuhitus.

Miks Aqneursa ELis heaks kiideti?

C-tüüpi Niemanni-Picki tõbi on harvaesinev eluohtlik seisund, mille ravivõimalused on piiratud. Aqneursa müügiloa andmise ajal oli ainus C-tüüpi Niemanni-Picki tõve neuroloogiliste sümptomite müügiloaga ravim miglustaat.

Hoolimata mõnest ebakindlusest põhiuuringus, näiteks pikaajaliseks kasutamiseks kavandatud ravimi suhteliselt lühike kasutamisaeg, parandas Aqneursa C-tüüpi Niemanni-Picki tõve neuroloogilisi sümptomeid, sealhulgas liikumist ja koordinatsiooni mõjutavaid sümptomeid. Lisaks halvenesid oluliselt ravi katkestanud patsientide sümptomid. Müügiloa andmise ajal oli ainus Aqneursaga seostatav kõrvaltoime kõhupuhitus.

Euroopa Raviamet otsustas, et Aqneursa kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Mis meetmed võetakse, et tagada Aqneursa ohutu ja efektiivne kasutamine?

Aqneursa ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite korral, tehakse Aqneursa kasutamise kohta pidevat järelvalvet. Aqneursa oletatavaid teatatud kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Aqneursa kohta

Aqneursa on saanud müügiloa, mis kehtib kogu ELis,

Lisateave Aqneursa kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aqneursa.