



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nezglyal (*leriglitasoon*)

Lihtne ülevaade ravimist Nezglyal ja miks anti sellele ELis müügiluba

Mis on Nezglyal ja milleks seda kasutatakse?

Nezglyal on ravim, mida kasutatakse tserebraalse adrenoleukodüstroofia raviks 2–12-aastastel poistel, kellel on kerged sümptomid või need puuduvad, tuginedes neuroloogilisele funktsionaalsele skoorile 0 või 1.

Seda kasutatakse patsientidel, kelle ajukahjustused ei imenda MRT-ajuuuringute ajal kontrastainet gadoliiniumi (Gd-negatiivsed kahjustused), mis näitab, et haigus on varajases staadiumis.

Peaaju adrenoleukodüstroofia on geneetilise haiguse adrenoleukodüstroofia vorm, milles kogunevad teatud rasvained (väga pika ahelaga rasvhapped) organismi kudedesse, peamiselt pea- ja seljaajus ja neerupealistes (kaks nääret neerude kohal). Peaaju adrenoleukodüstroofia korral põhjustab nende ainete akumulatsioon aju põletikku ja hävitab kaitsekesta (müeliini), mis isoleerib närvirakke ja aitab neil anda signaale.

Peaaju adrenoleukodüstroofia esineb harva ja Nezglyal nimetati 18. novembril 2016 adrenoleukodüstroofia harvikravimiks. Harvikravimiks nimetamise lisateave on EMA [veebilehel](#).

Nezglyal sisaldab toimeainet leriglitasooni.

Kuidas Nezglyali kasutatakse?

Nezglyal on retseptiravim. Ravi peab alustama ja jälgima arst, kes on kogenud selliste haiguste ravis, mille korral kesknärvisüsteemi rakud lakkavad töötamast või surevad.

Ravimit turustatakse suukaudse suspensioonina, mida võetakse üks kord ööpäevas. Annus põhineb lapse pikkusel ja kehamassil.

Enne Nezglyali manustamist ja ravi ajal teeb arst korrapäraselt vereanalüüse, et kontrollida, kui hästi patsiendi maks toimib. Kui analüüsitulemused viitavad probleemidele patsiendi maksatalitluses, võib olla vaja ravi ajutiselt katkestada.

Lisateavet Nezglyali kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

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



Kuidas Nezglyal toimib?

Nezglyali toimeaine leriglitasoon seondub rakkudes, sealhulgas närvirakkudes leiduvate PPAR gammaretseptoritega, ja aktiveerib need. PPAR gammaretseptorid reguleerivad mitokondrite (rakkude energiat tootvate struktuuride) talitlust, kuidas rakud reageerivad oksüdatiivsele stressile (toksilistest hapnikku sisaldavatest molekulidest ehk vabadest radikaalidest põhjustatud kahjustus) ja põletikule. Seetõttu eeldatakse, et leriglitasoon kaitseb närvirakke kahjustuste eest, vähendades põletikku, parandades mitokondrite talitlust ja kaitstes vabade radikaalide kahjustuste eest.

Mis on uuringute põhjal Nezglyali kasulikkus?

Põhiuuringus osales 23 peaaegu adrenoleukodüstroofiaga (sealhulgas Gd-positiivsed või Gd-negatiivsed ajukahjustused) poissi vanuses 2–12 aastat. Kõik patsiendid said Nezglyali lisaks tavapärasele ravile ja vajaduse korral vereloome tüvirakkude siirdamisele uuringu mis tahes etapis. Vereloome tüvirakkude siirdamine on protseduur, millega patsiendile siiratakse tüvirakke, et aidata luuüdil toota terveid vererakke. Nezglyali ei võrreldud muude ravimitega. Pärast 96 nädalat või vereloome tüvirakkude siirdamisele eelnenud visiiti peatus haiguse süvenemine 35%-l patsientidest (7 patsiendil 20st, kelle kohta oli kogutud piisavalt andmeid), võrreldes haiguse eeldatava peatumismääraga 10%, kui haigus oleks kulgenud loomulikult. Enamikul patsientidest (6 patsienti 7-st), kellel haigus Nezglyaliga peatus, olid ravi alguses Gd-negatiivsed ajukahjustused.

Nezglyaliga tehtud uuringuid kirjeldatakse üksikasjalikult ravimi hindamisaruandes.

Mis on Nezglyali kõrvalnähud ja piirangud?

Nezglyali kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Nezglyali kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda kuni 1 lapsel 10st) on näiteks kehakaalu suurenemine, silmalau ödeem (vedelikupeetusest põhjustatud turse), leukopeenia (leukotsüütide ehk vere valgeliblede vähesus) ja neutropeenia (neutrofiilide ehk teatud infektsioonivastaste valgeliblede vähesus).

Nezglyali ei tohi kasutada patsiendid, kellel on 2. tüüpi diabeedi raviks kasutatavate tiasolidiindiooni sisaldavate ravimite suhtes ülitundlikkus (allergia). Samuti ei tohi seda kasutada patsiendid, kellel on või on varem olnud südamepuudulikkus.

Miks Nezglyal ELis heaks kiideti?

Müügiloa andmise ajal ei olnud olemas heakskiidetud ravimeid selliste patsientide raviks, kellel on Gd-negatiivne tserebraalne adrenoleukodüstroofia, mis on väga haruldane ja kiiresti progresseeruv haigus. Ainus võimalik ravivõimalus progresseeruva tserebraalse adrenoleukodüstroofia (tavaliselt koos Gd-positiivsete kahjustustega) raviks on vereloome tüvirakkude siirdamine.

On tõendatud, et Nezglyal on efektiivne haiguse progresseerumise peatamisel tserebraalse adrenoleukodüstroofiaga lastel, kellel on Gd-negatiivsed kahjustused, mis on haiguse varane staadium, kus ravi toob eeldatavasti suurimat pikaajalist kasu. Ohutuse seisukohast peetakse kõrvalnähte hallatavaks.

Otsuse tegemisel võttis Euroopa Raviamet arvesse ka patsiendiorganisatsioonide ja tervishoiutöötajate organisatsioonide panust.

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

Nezglyali on saanud müügiloa erandlikel asjaoludel. Põhjus on selles, et tserebraalse adrenoleukodüstroofia ravi rahuldamata ravivajadus on suur ja harvaesineva haiguse tõttu ei ole olnud võimalik saada Nezglyali kohta täielikku teavet. Ettevõtte peab esitama Nezglyali kohta lisaandmeid. Ettevõtte peab esitama ravimi ohutust käsitleva uuringu tulemused ja Nezglyali pikaajalist efektiivsust käsitleva registripõhise uuringu tulemused. Samuti peab ettevõtte igal aastal esitama ajakohastatud teabe ravimi ohutuse ja efektiivsuse kohta. Amet vaatab igal aastal läbi kogu uue teabe.

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

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

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

Muu teave Nezglyali kohta

Nezglyali lisateave, sealhulgas pakendi infoleht ja hindamisaruanne, on ameti veebilehel:

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

Kui soovite teada, kas seda ravimit turustatakse teie riigis, võtke ühendust [riikliku pädeva asutusega](#).