



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Aqneursa (*levasetyylileusiini*)

Yleistiedot Aqneursa-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Aqneursa on ja mihin sitä käytetään?

Aqneursa on lääke, jota käytetään Niemann-Pickin taudin tyyppi C:n (NPC) neurologisten oireiden (aivoihin ja hermoihin vaikuttavien oireiden) hoitoon aikuisilla ja vähintään 6-vuotiailla lapsilla, joiden paino on vähintään 20 kg.

NPC on perinnöllinen sairaus, joka vaikuttaa kehon kykyyn kuljettaa rasvoja solujen sisällä. Ajan mittaan nämä rasvat kertyvät aivojen ja hermoston muiden osien soluihin, minkä vuoksi solut lakkaavat toimimasta asianmukaisesti ja lopulta kuolevat. Oireita ovat esimerkiksi tasapaino-, liike- ja nielemisvaikeudet, puheen epäselvyys ja hallitsematon vapina.

Aqneursaa käytetään yhdessä miglustaatin kanssa, joka on toinen lääke NPC:n neurologisten oireiden hoitoon. Sitä voidaan käyttää myös yksinään, jos miglustaattihoito on aiheuttanut haittavaikutuksia, joiden vuoksi se ei sovellu potilaalle.

NPC on harvinainen sairaus, ja Aqneursa nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 20. maaliskuuta 2017. Lisätietoa harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on EMAn [verkkosivustolla](#).

Aqneursan vaikuttava aine on levasetyylileusiini.

Miten Aqneursaa käytetään?

Aqneursaa saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Lääkettä on saatavana rakeita sisältävinä annospusseina. Rakeet sekoitetaan veteen suspensioksi, joka otetaan suun kautta 2–3 kertaa vuorokaudessa. Suspensio voidaan antaa myös ruokintaletkun kautta.

Annos määräytyy potilaan painon mukaan. Lisätietoa Aqneursan käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäritä tai apteekista.

Miten Aqneursa vaikuttaa?

NPC:tä aiheuttavat muutokset (mutaatiot) geeneissä, jotka antavat ohjeita NPC1- ja NPC2-proteiinien tuotantoon. Nämä proteiinit osallistuvat yleensä rasvojen siirtämiseen lysosomeista (solussa sijaitsevia pienistä pusseista, jotka hajottavat suuria molekyylejä, kuten rasvoja) solujen muihin osiin. NPC:tä

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



sairastavilla NPC1- tai NPC2-proteiinit eivät toimi kunnolla, mikä johtaa soluille haitalliseen rasvan kertymiseen lysosomeihin.

Aqneursan vaikuttavan aineen, levasetyyllileusiinin, tarkkaa vaikutusta ei tunneta. Eläimillä tehdyt tutkimukset viittaavat kuitenkin siihen, että se voi auttaa korjaamaan solujen kykyä tuottaa energiaa. Tähän sisältyy solujen kyky valmistaa adenosiinitrifosfaattia, joka on tärkein energianlähde aivojen soluille, jotka säätelevät liikettä ja tasapainoa.

Mitä hyötyä Aqneursasta on havaittu tutkimuksissa?

Päätutkimukseen osallistui 60 aikuista ja vähintään 6-vuotiaasta lasta, joiden paino oli vähintään 20 kg. Aqneursa-hoito paransi heidän liikkumistaan, koordinaatiotaan ja kykyään suoriutua päivittäisistä askareista lumelääkkeeseen verrattuna.

Tutkimuksessa potilaille annettiin joko Aqneursaa tai lumelääkettä ensimmäisten 12 viikon ajan, ja 60 osallistujasta 51 sai myös miglustaattihoitoa. Tämän jälkeen ryhmät vaihdettiin. Aqneursalla hoidetut potilaat saivat lumelääkettä ja lumelääkettä saaneet potilaat saivat Aqneursaa vielä 12 viikon ajan. Tehon pääasiallisena mittana oli ataksian arviointi- ja luokitusasteikon (SARA) pistemäärän muutos. SARA-pistemäärä mittaa sitä, kuinka paljon ataksia (lihasten koordinaation menetystä aiheuttava tila) vaikuttaa henkilön liikkumiseen, koordinaatioon ja kykyyn suorittaa jokapäiväisiä askareita. Asteikko vaihtelee 0:sta (ei ataksiaa) 40:een (vaikea ataksia); henkilön pistemäärän lasku tarkoittaa sitä, että hänen oireensa paranevat.

Aqneursa-hoito vähensi SARA-pistemäärää keskimäärin noin kaksi pistettä, kun lumelääkettä saaneilla laskua oli 0,6 pistettä. Lisäksi SARA-pistemäärä huononi niiden potilaiden kohdalla, jotka saivat ensin Aqneursaa mutta joiden lääkitykseksi vaihdettiin lumelääke, sen jälkeen, kun hoito Aqneursalla lopetettiin.

Mitä riskejä Aqneursaan liittyy?

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Aqneursan haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Aqneursan yleisin haittavaikutus (jota saattaa aiheutua enintään yhdelle potilaalle kymmenestä) on ilmavaivat.

Miksi Aqneursa on hyväksytty EU:ssa?

NPC on harvinainen hengenvaarallinen sairaus, jonka hoitovaihtoehdot ovat rajalliset. Aqneursan hyväksymisen aikaan ainoa lääke, jolla on myyntilupa NPC:n neurologisten oireiden hoitoon, oli miglustaatti.

Vaikka päätutkimukseen liittyi joitakin epävarmuustekijöitä, kuten pitkäaikaiseen käyttöön tarkoitetun lääkkeen suhteellisen lyhyt hoidon kesto, Aqneursa paransi NPC:n neurologisia oireita, myös liikkumiseen ja koordinaatioon liittyviä oireita. Lisäksi oireet pahenivat hoidon lopettaneilla potilailla huomattavasti. Myyntiluvan myöntämishetkellä ainoa Aqneursaan liittyvä haittavaikutus oli ilmavaivat.

Euroopan lääkevirasto katsoi näin ollen, että Aqneursasta saatava hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Aqneursan turvallinen ja tehokas käyttö?

Suosituksat ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Aqneursan käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Aqneursan käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Aqneursa-valmisteesta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Aqneursasta

Aqneursa sai koko EU:n alueella voimassa olevan myyntiluvan

Lisätietoja Aqneursasta on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aqneursa.