



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nezglyal (*leriglitatsoni*)

Yleistajuiset yleistiedot Nezglyalista ja siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Nezglyal on ja mihin sitä käytetään?

Nezglyal on lääke, jota käytetään aivojen adrenoleukodystrofian hoitoon 2–12-vuotiailla pojilla, joilla on lieviä oireita tai ei lainkaan oireita neurologisen toimintapisteityksen 0 tai 1 perusteella.

Sitä annetaan potilaille, joiden aivoleesiot eivät kerää gadolinium-nimistä varjoainetta aivojen magneettikuvauksen aikana (Gd-negatiiviset leesiot), mikä osoittaa, että sairaus on alkuvaiheessa.

Aivojen adrenoleukodystrofia on geneettisen adrenoleukodystrofian ilmenemismuoto.

Adrenoleukodystrofiassa kehon eri kudoksiin, pääasiassa aivoissa, selkäytimessä ja munuaisten yläpuolella sijaitsevista lisämunuaisista oleviin kudoksiin, kertyy rasvaa hyvin pitkäketjuisten rasvahappojen muodossa. Aivojen adrenoleukodystrofiassa hyvin pitkäketjuisten rasvahappojen kertyminen elimistöön aiheuttaa tulehdusta ja vaurioita hermojen suojakuoressa (myeliinissä), joka eristää hermoja ja auttaa niitä viestimään.

Aivojen adrenoleukodystrofia on harvinainen sairaus, ja Nezglyal nimettiin adrenoleukodystrofian hoitoon tarkoitetuksi harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 18. marraskuuta 2016. Lisätietoa harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on EMAn [verkkosivustolla](#).

Nezglyalin vaikuttava aine on leriglitatsoni.

Miten Nezglyalia käytetään?

Nezglyal-valmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Hoidon saa aloittaa vain lääkäri, jolla on kokemusta sellaisten sairauksien hoidosta, joissa keskushermoston solut lakkaavat toimimasta tai kuolevat, ja hänen tulee myös valvoa hoitoa.

Lääkettä on saatavana suspensiona, joka otetaan suun kautta kerran vuorokaudessa. Annos määräytyy lapsen pituuden ja painon mukaan.

Ennen Nezglyal-hoidon aloittamista ja sen aikana lääkäri tekee säännöllisiä verikokeita tarkistaakseen, miten hyvin potilaan maksa toimii. Hoito saatetaan joutua keskeyttämään tilapäisesti, jos testeissä ilmenee potilaan maksan toimintaan liittyviä ongelmia.

Lisätietoja Nezglyalin käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

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



Miten Nezglyal vaikuttaa?

Nezglyalin vaikuttava aine leriglitatsoni vaikuttaa kiinnittymällä solujen ja myös hermosolujen sisällä oleviin PPAR-gamma-reseptoreihin (kohteisiin) ja aktivoimalla niitä. PPAR-gamma-reseptorit säätelevät mitokondrioiden (solujen energiaa tuottavien rakenteiden) toimintaa ja sitä, miten solut reagoivat oksidatiiviseen stressiin (myrkyllisten happea sisältävien molekyylien eli vapaiden radikaalien aiheuttamiin vaurioihin) ja tulehdukseen. Näin ollen leriglitatsonin odotetaan suojaavan hermosoluja vaurioilta vähentämällä tulehdusta, parantamalla mitokondrioiden toimintaa ja suojelemalla niitä vapaiden radikaalien aiheuttamilta vaurioilta.

Mitä hyötyä Nezglyalista on havaittu tutkimuksissa?

Päätutkimukseen osallistui 23 iältään 2–12-vuotiasta poikaa, joilla oli aivojen adrenoleukodystrofia, mukaan lukien ne, joilla oli Gd-positiivisia tai Gd-negatiivisia aivoleesioita. Kaikki potilaat saivat Nezglyalia tavanomaisen hoitonsa lisäksi ja, jos se oli mahdollista, hematopoieettisen kantasolujen siirron (HSCT) missä tahansa tutkimuksen vaiheessa. Hematopoieettinen kantasolujen siirto on toimenpide, jossa potilas saa kantasoluja, jotka auttavat luuydintä tuottamaan terveitä verisoluja. Nezglyalia ei verrattu toiseen hoitoon. 96 viikon jälkeen tai hematopoieettista kantasolujen siirtoa edeltävän käynnin ajankohtana sairauden paheneminen oli onnistuttu pysäyttämään 35 prosentilla potilaista (7 potilaalla 20:stä, joista oli kerätty riittävästi tietoa). Vastaava odotuksenmukainen sairauden pysähdysaste on 10 prosenttia, jos sairauden annettaisiin edetä luonnollisesti. Useimmilla potilailla (kuudella seitsemästä potilaasta), joiden sairaus oli pysähtynyt Nezglyal-valmisteeseen antamisen yhteydessä, oli hoidon alussa Gd-negatiivisia aivoleesioita.

Nezglyalilla tehtyjä tutkimuksia kuvataan tarkemmin lääkevalmisteeseen arviointiraportissa.

Mitä haittavaikutuksia ja rajoituksia Nezglyaliin liittyy?

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Nezglyalin haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Nezglyalin yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua enintään yhdelle lapselle kymmenestä) ovat painonnousu, silmäluomen turvotus (nesteiden kertymisestä johtuva turvotus), leukopenia (veren valkosolujen vähyys) ja neutropenia (infektioita torjuvien valkosolujen, neutrofiilien, vähyys).

Nezglyalia ei saa antaa henkilöille, jotka ovat yliherkkiä (allergisia) tiatsolidiinidionia sisältäville lääkkeille, joita käytetään tyypin 2 diabeteksen hoitoon. Sitä eivät saa käyttää myöskään henkilöt, joilla on tai on aiemmin ollut sydämen vajaatoiminta.

Miksi Nezglyal on hyväksytty EU:ssa?

Hyväksymisajankohtana ei ollut hyväksyttyjä lääkkeitä sellaisten potilaiden hoitoon, joilla olisi Gd-negatiivinen aivojen adrenoleukodystrofia, joka on hyvin harvinainen nopeasti etenevä sairaus. Ainoa mahdollinen hoitovaihtoehto etenevälle (pahenevalle) aivojen adrenoleukodystrofialle (johon liittyy yleensä Gd-positiivisia leesioita) on hematopoieettinen kantasolujen siirto.

Nezglyalin on osoitettu olevan tehokas sairauden etenemisen pysäyttämisessä aivojen adrenoleukodystrofiaa sairastavilla lapsilla, joilla on Gd-negatiivisia leesioita. Kyseessä on sairauden varhaisvaihe, jossa hoidon odotetaan tuottavan suurimman pitkän aikavälin hyödyn. Turvallisuuden osalta haittavaikutusten katsotaan olevan hallittavissa.

Päätöstä tehdessään Euroopan lääkevirasto otti huomioon myös potilasjärjestöiltä ja terveydenhuollon ammattijärjestöiltä saadut tiedot.

Virasto katsoi, että Nezglyalin hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Nezglyal on saanut myyntiluvan poikkeuksellisissa olosuhteissa. Tämä johtuu siitä, että aivojen adrenoleukodystrofian hoitoon on suuri täyttämätön lääketieteellinen tarve, eikä Nezglyalista ole ollut mahdollista saada täydellisiä tietoja sairauden harvinaisuuden vuoksi. Yhtiön on toimitettava lisätietoja Nezglyalista. Sen on toimitettava tulokset tutkimuksesta, jossa tarkastellaan lääkkeen turvallisuutta, sekä Nezglyalin pitkäaikaista tehoa koskevan rekisteripohjaisen tutkimuksen tulokset. Yhtiön on myös toimitettava vuosittain ajantasaiset tiedot kaikista uusista tiedoista, jotka koskevat lääkkeen turvallisuutta ja tehoa. Virasto arvioi vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot.

Miten voidaan varmistaa Nezglyalin turvallinen ja tehokas käyttö?

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

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Nezglyalin käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Nezglyalista ilmoitetut epäillyt haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet tehdään potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Nezglyalista

Lisätietoja Nezglyalista, mukaan lukien pakkausseloste ja arviointiraportti, on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nezglyal.

Tietoa tämän lääkkeen saatavuudesta kussakin maassa saa ottamalla yhteyttä [kansalliseen toimivaltaiseen viranomaiseen](#).