



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Aqneursa (*levacetilleucin*)

Pregled informacija o lijeku Aqneursa i zašto je odobren u EU-u

### Što je Aqneursa i za što se koristi?

Aqneursa je lijek za liječenje neuroloških simptoma (simptoma koji zahvaćaju mozak i živce) Niemann-Pickove bolesti tipa C (NPC) u odraslih osoba i djece u dobi od 6 godina i starije čija je tjelesna težina najmanje 20 kg.

NPC je nasljedna bolest koja utječe na sposobnost organizma da prenosi masti unutar stanica. Tijekom vremena te se masti nakupljaju u stanicama mozga i drugim dijelovima živčanog sustava, zbog čega stanice prestaju pravilno funkcionirati i naposljetku odumiru. To dovodi do simptoma kao što su problemi s ravnotežom, pokretima i gutanjem, nerazgovjetan govor i nekontrolirano drhtanje.

Aqneursa se primjenjuje u kombinaciji s miglustatom, drugim lijekom za liječenje neuroloških simptoma NPC-a. Može se primjenjivati i kao samostalna terapija ako je liječenje miglustatom uzrokovalo nuspojave zbog kojih nije prikladan za bolesnika.

NPC je rijetka bolest, a lijek Aqneursa dobio je status „lijeka za rijetku bolest” 20. ožujka 2017. Više informacija o statusu lijekova za rijetke bolesti dostupno je na [mrežnom mjestu](#) EMA-e.

Aqneursa sadrži djelatnu tvar levacetilleucin.

### Kako se Aqneursa primjenjuje?

Aqneursa se izdaje samo na liječnički recept. Lijek je dostupan u obliku vrećica s granulama koje se miješaju s vodom za pripremu suspenzije, koja se uzima kroz usta dva do tri puta na dan. Suspenzija se može dati i putem cjevčice za hranjenje.

Doza lijeka ovisi o tjelesnoj težini bolesnika. Za više informacija o primjeni lijeka Aqneursa pročitajte uputu o lijeku odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

### Kako djeluje Aqneursa?

NPC je uzrokovan promjenama (mutacijama) gena koji daju upute za proizvodnju bjelančevina naziva NPC1 i NPC2. Te bjelančevine u pravilu sudjeluju u prijenosu masti iz lizosoma (malih vrećica u stanicama koje razgrađuju velike molekule kao što su masti) u druge dijelove stanice. U osoba s NPC-om, NPC1 ili NPC2 ne funkcioniraju ispravno, što dovodi do nakupljanja masti u lizosomima i šteti stanicama.

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Točan način djelovanja djelatne tvari u lijeku Aqneursa, levacetilleucina, nije poznat. Međutim, istraživanja na životinjama upućuju na to da to može doprinijeti sposobnosti stanica da proizvode energiju. To uključuje sposobnost stanica da proizvode adenozin trifosfat, glavni izvor energije za stanice u mozgu koje kontroliraju pokrete i ravnotežu.

## **Koje su koristi od lijeka Aqneursa utvrđene u ispitivanjima?**

U glavnom ispitivanju koje je obuhvatilo 60 odraslih osoba i djece u dobi od 6 godina i starije, tjelesne težine od najmanje 20 kg, terapija lijekom Aqneursa rezultirala je poboljšanjem njihovih pokreta, koordinacije i sposobnosti izvršavanja svakodnevnih zadataka u usporedbi s placebom (prividnim liječenjem).

Tijekom prvih 12 tjedana bolesnici su primali lijek Aqneursa ili placebo, a 51 od 60 sudionika također je primalo terapiju miglustatom. Nakon tog razdoblja skupine su se zamijenile: bolesnici na terapiji lijekom Aqneursa primali su placebo, a bolesnici koji su prethodno primali placebo dobivali su lijek Aqneursa tijekom dodatnih 12 tjedana. Glavno mjerilo djelotvornosti bila je promjena u ljestvici za procjenu i ocjenu ataksije (engl. *Scale for the Assessment and Rating of Ataxia*, SARA). SARA mjeri koliko ataksija (stanje koje uzrokuje gubitak koordinacije mišića) utječe na pokrete, koordinaciju i sposobnost osobe da obavlja svakodnevne zadatke. Ljestvica je u rasponu od 0 (bez ataksije) do 40 (teška ataksija) pa niži rezultat za određenu osobu znači da se njezini simptomi poboljšavaju.

Ukupno gledajući, terapija lijekom Aqneursa pokazala je prosječno smanjenje rezultata na ljestvici SARA od otprilike dva boda, u usporedbi sa smanjenjem od 0,6 bodova koje je postignuto primjenom placeba. Osim toga, kod osoba koje su primale lijek Aqneursa, a zatim su prebačene na placebo, došlo je do pogoršanja rezultata na ljestvici SARA nakon prekida liječenja ovim lijekom.

## **Koji su rizici povezani s lijekom Aqneursa?**

Potpuni popis nuspojava i ograničenja povezanih s lijekom Aqneursa potražite u uputi o lijeku.

Najčešća nuspojava lijeka Aqneursa (koja se može javiti u manje od 1 na 10 osoba) jest nadutost (vjetrovi).

## **Zašto je lijek Aqneursa odobren u EU-u?**

NPC je rijetko, po život opasno stanje s ograničenim mogućnostima liječenja. U trenutku odobrenja lijeka Aqneursa jedini lijek odobren za liječenje neuroloških simptoma NPC-a bio je miglustat.

Unatoč nekim nesigurnostima u glavnom ispitivanju, kao što je relativno kratko trajanje terapije lijekom namijenjenim za dugoročnu primjenu, lijek Aqneursa doveo je do poboljšanja neuroloških simptoma NPC-a, uključujući one koji utječu na pokrete i koordinaciju. Nadalje, kod osoba koje su prekinule liječenje došlo je do značajnog pogoršanja simptoma. U vrijeme odobrenja jedina nuspojava povezana s lijekom Aqneursa bila je nadutost.

Europska agencija za lijekove stoga je zaključila da koristi od lijeka Aqneursa nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

## **Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Aqneursa?**

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Aqneursa nalaze se u sažetku opisa svojstava i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Aqneursa kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave prijavljene za lijek Aqneursa pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se sve potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

## **Ostale informacije o lijeku Aqneursa**

Za lijek Aqneursa izdano je odobrenje za stavljanje u promet koje je na snazi u EU-u od

Više informacija o lijeku Aqneursa dostupno je na mrežnom mjestu Agencije:

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aqneursa](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aqneursa).