



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nezglyal (*leriglitzon*)

Pregled informacija o lijeku Nezglyal na jednostavnom jeziku i zašto je odobren u EU-u

Što je Nezglyal i za što se koristi?

Nezglyal se koristi za liječenje cerebralne adrenoleukodistrofije u dječaka u dobi od 2 do 12 godina koji imaju blage simptome ili nemaju simptome, na temelju neurološkog funkcionalnog rezultata od 0 ili 1.

Primjenjuje se u bolesnika u kojih lezije na mozgu ne preuzimaju kontrastno sredstvo gadolinij (tj. imaju Gd-negativne lezije) na magnetskoj rezonanciji mozga, što upućuje na to da je bolest u ranoj fazi.

Cerebralna adrenoleukodistrofija oblik je genetske bolesti koja se naziva adrenoleukodistrofija u kojoj se masne tvari, poznate kao „masne kiseline vrlo dugog lanca“, nakupljaju u tkivima u tijelu, uglavnom u mozgu, leđnoj moždini i nadbubrežnim žlijezdama (dvjema žlijezdama koje se nalaze iznad bubrega). U cerebralnoj adrenoleukodistrofiji nakupljanje tih tvari u mozgu uzrokuje upalu i propadanje zaštitne ovojnice (mijelina), koji izolira živčane stanice i pomaže im u prijenosu signala.

Cerebralna adrenoleukodistrofija rijetka je bolest, a lijek Nezglyal dobio je status „lijeka za rijetku bolest“ 18. studenoga 2016. za liječenje adrenoleukodistrofije. Više informacija o statusu lijekova za rijetke bolesti dostupno je na [mrežnom mjestu](#) EMA-e.

Nezglyal sadrži djelatnu tvar leriglitzon.

Kako se Nezglyal primjenjuje?

Nezglyal se izdaje samo na recept, a liječenje mora započeti i nadzirati liječnik s iskustvom u liječenju bolesti kod kojih stanice središnjeg živčanog sustava prestaju funkcionirati ili odumiru.

Lijek je dostupan kao suspenzija koja se uzima kroz usta jednom na dan. Doza se temelji na visini i tjelesnoj težini djeteta.

Prije početka primjene lijeka Nezglyal i tijekom liječenja liječnik će obavljati redovite krvne pretrage kako bi provjerio koliko dobro funkcionira jetra bolesnika. Možda će biti potrebno privremeno prekinuti liječenje ako se na pretragama utvrde problemi s funkcijom jetre bolesnika.

Za više informacija o primjeni lijeka Nezglyal pročitajte uputu o lijeku odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

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



Kako djeluje Nezglyal?

Djelatna tvar lijeka Nezglyal, leriglitazon, djeluje vezivanjem na receptore (ciljna mjesta) pod nazivom „receptori PPAR gama“, koji se nalaze u stanicama, među ostalim u živčanim stanicama. Receptori PPAR gama sudjeluju u reguliranju funkcije mitohondrija (staničnih struktura koje proizvode energiju), u načinu na koji stanice reagiraju na oksidativni stres (oštećenje uzrokovano toksičnim molekulama koje sadrže kisik, poznatim kao slobodni radikali) i upalu. Stoga se očekuje da će leriglitazon štititi živčane stanice od oštećenja smanjenjem upale, poboljšanjem funkcije mitohondrija te da će pružati zaštitu od oštećenja koja uzrokuju slobodni radikali.

Koje su koristi od lijeka Nezglyal utvrđene u ispitivanjima?

Glavnim ispitivanjem bila su obuhvaćena 23 dječaka u dobi od 2 do 12 godina s cerebralnom adrenoleukodistrofijom, uključujući dječake s Gd-pozitivnim ili Gd-negativnim lezijama na mozgu. Svi su bolesnici primali lijek Nezglyal uz standardno liječenje i, ako je to prihvatljivo, bili su podvrgnuti transplantaciji hematopoetskih matičnih stanica (engl. *haematopoietic stem cell transplantation*, HSCT) u bilo kojem trenutku tijekom ispitivanja. HSCT je postupak u kojem bolesnik prima matične stanice kako bi koštana srž mogla proizvoditi zdrave krvne stanice. Nezglyal nije uspoređen s drugim terapijama. Nakon 96 tjedana ili prilikom posjeta prije HSCT-a pogoršanje bolesti zaustavljeno je u 35 % bolesnika (7 od 20 za koje je prikupljeno dovoljno podataka), u usporedbi s očekivanom stopom zaustavljanja bolesti od 10 % u prirodnom tijeku. Većina bolesnika (6 od 7) u kojih je bolest zaustavljena primjenom lijeka Nezglyal imali su Gd-negativne lezije na mozgu na početku liječenja.

Ispitivanja provedena s lijekom Nezglyal detaljnije su opisana u izvješću o procjeni lijeka.

Koje su nuspojave i ograničenja povezani s lijekom Nezglyal?

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

Najčešće nuspojave lijeka Nezglyal (koje se mogu javiti u manje od 1 na 10 djece) uključuju povećanje tjelesne težine, edem očnih kapaka (oticanje zbog zadržavanja tekućine), leukopeniju (niske razine bijelih krvnih stanica) i neutropeniju (niske razine neutrofila, vrste bijelih krvnih stanica koje se bore protiv infekcija).

Nezglyal se ne smije primjenjivati u osoba koje imaju preosjetljivost (alergiju) na lijekove koji sadrže tiazolidinedion, a koji se koriste za liječenje dijabetesa tipa 2. Ne smiju ga upotrebljavati ni osobe koje imaju ili su prethodno imale zatajenje srca.

Zašto je lijek Nezglyal odobren u EU-u?

U trenutku izdavanja odobrenja nije bilo odobrenih lijekova za liječenje bolesnika s Gd-negativnom cerebralnom adrenoleukodistrofijom, vrlo rijetkom bolešću koja brzo napreduje. Jedina moguća opcija liječenja progresivne cerebralne adrenoleukodistrofije (koja se pogoršava), obično s Gd-pozitivnim lezijama, jest HSCT.

Nezglyal se pokazao učinkovitim u zaustavljanju progresije bolesti u djece s cerebralnom adrenoleukodistrofijom koja imaju Gd-negativne lezije, što je rana faza bolesti u kojoj se očekuje da će liječenje donijeti najveću dugoročnu korist. U pogledu sigurnosti primjene, smatra se da se nuspojave mogu kontrolirati.

Pri donošenju svoje odluke Europska agencija za lijekove uzela je u obzir i informacije koje su dostavile organizacija bolesnika i organizacija zdravstvenih radnika.

Agencija je zaključila da koristi od lijeka Nezglyal nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

Lijek Nezglyal odobren je u iznimnim okolnostima. Razlog tome je činjenica da postoji velika nezadovoljena medicinska potreba za liječenjem cerebralne adrenoleukodistrofije kao i nemogućnost dobivanja potpunih informacija o lijeku Nezglyal zbog male učestalosti bolesti. Tvrtka mora dostaviti dodatne podatke o lijeku Nezglyal. Mora dostaviti rezultate ispitivanja sigurnosti lijeka, kao i rezultate ispitivanja dugoročne učinkovitosti lijeka Nezglyal koje se temelji na registru. Tvrtka mora svake godine dostavljati i nove informacije koje se odnose na učinkovitost i sigurnost primjene lijeka. Svake će godine Europska agencija za lijekove procijeniti sve nove informacije koje postanu dostupne.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Nezglyal?

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

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

Ostale informacije o lijeku Nezglyal

Više informacija o lijeku Nezglyal, uključujući uputu o lijeku i izvješće o procjeni, dostupno je na mrežnom mjestu Agencije: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nezglyal.

Za informacije o dostupnosti ovog lijeka u vašoj zemlji obratite se svojem [nacionalnom nadležnom tijelu](#).