



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Aqneursa (*levacetil-leucin*)

Az Aqneursa-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer az Aqneursa és milyen betegségek esetén alkalmazható?

Az Aqneursa a C-típusú Niemann-Pick- (NPC) betegség idegrendszeri tüneteinek (az agyat és az idegeket érintő tünetek) kezelésére alkalmazott gyógyszer felnőtteknél és legalább 20 kg testsúlyú, 6 éves és idősebb gyermekeknél.

Az NPC egy örökletes betegség, amely befolyásolja a szervezetnek azt a képességét, hogy a zsírokat a sejtekbe juttassa. Idővel ezek a zsírok felhalmozódnak az agy sejtjeiben és az idegrendszer más részeiben, ami miatt a sejtek már nem működnek megfelelően, és végül elpusztulnak. Ez olyan tünetekhez vezet, mint az egyensúly-, mozgás- és nyelésproblémák, az elkent beszéd és a nem uralható remegés.

Az Aqneursa-t az NPC idegrendszeri tüneteinek kezelésére szolgáló, másik gyógyszerrel, miglusztáttal együtt alkalmazzák. Önmagában is alkalmazható, ha a miglusztáttal végzett kezelés olyan mellékhatásokat okozott, amelyek miatt nem megfelelő a beteg számára.

Mivel az NPC „ritkának” minősül, ezért az Aqneursa-t 2017. március 20-án „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az EMA [honlapján](#) található.

Az Aqneursa hatóanyaga a levacetil-leucin.

Hogyan kell alkalmazni az Aqneursa-t?

Az Aqneursa csak receptre kapható. A gyógyszer granulátumot tartalmazó tasakokban kapható, amelyből vízzel elkeverve szuszpenziót készítenek, és ezt szájon át, naponta 2–3 alkalommal kell bevenni. A szuszpenzió tápszondával is beadható.

Az adag a beteg testtömegétől függ. Az Aqneursa alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

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



Hogyan fejti ki hatását az Aqneursa?

Az NPC-t az NPC1 és az NPC2 nevű fehérje előállításához útmutatást adó gének változásai (mutációi) okozzák. Ezek a fehérjék rendes esetben a zsíroknak a lizoszómákból (a sejtekben levő zsákocskák, amelyek nagy molekulákat, például zsírokat bontanak le) a sejt más részeibe szállításában vesznek részt. Az NPC-vel élő betegeknél az NPC1 vagy az NPC2 nem működik megfelelően, ami a lizoszómákban a sejtekre káros hatású zsírfelhalmozódáshoz vezet.

Nem ismert, hogy az Aqneursa hatóanyaga, a levacetil-leucin pontosan hogyan működik. Az állatokon végzett vizsgálatok azonban arra utalnak, hogy segítheti a sejtek energiatermelő képességének helyreállítását. Ebbe beleértendő a sejteknek az a képessége, hogy adenozin-trifoszfátot állítsanak elő, amely az agy mozgást és egyensúlyt szabályozó sejtjeinek fő energiaforrása.

Milyen előnyei voltak az Aqneursa alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy fő vizsgálatban, amelyben 60, legalább 20 kg testsúlyú felnőtt és 6 éves vagy ennél idősebb gyermek vett részt, az Aqneursa-val végzett kezelés eredményeként placebóhoz (hatóanyag nélküli kezeléshez) képest javult a mozgás, a koordináció és a mindennapi feladatok elvégzésének képessége.

A vizsgálatban a betegek az első 12 hétben vagy Aqneursa-t, vagy placebót kaptak; a 60 résztvevőből 51-en miglusztátkezelést is kaptak. Az említett időszak után a csoportokat megcserélték; az Aqneursa-val kezelt betegek placebót, a placebóval kezelt betegek pedig Aqneursa-t kaptak újabb 12 hétig. A hatásosság fő mutatója az ataxia értékelő és osztályozó skálájának (SARA) változása volt. A SARA-pontszám azt méri, hogy milyen mértékben befolyásolja az ataxia (az izmok koordinációjának megszűnését okozó állapot) az adott személy mozgását, koordinációját és a mindennapi feladatok ellátására való képességét. A skála 0-tól (nincs ataxia) 40-ig (súlyos ataxia) terjed; a beteg pontszámának csökkenése azt jelenti, hogy a tünetei javulnak.

Összességében az Aqneursa-kezelés a SARA-pontszám átlagosan körülbelül 2 pontos csökkenését eredményezte, szemben a placebo esetében észlelt 0,6 pontos csökkenéssel. Ezenfelül az Aqneursa-val kezelt, majd placebóra váltó betegeknél a gyógyszerrel végzett kezelés leállítását követően a SARA-pontszám romlását tapasztalták.

Milyen kockázatokkal jár az Aqneursa alkalmazása?

Az Aqneursa alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Az Aqneursa leggyakoribb mellékhatása (10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet) a szellentés (bélgázosság).

Miért engedélyezték az Aqneursa forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az NPC ritka, életveszélyes állapot, korlátozott kezelési lehetőségekkel. Az Aqneursa engedélyezésének időpontjában a miglusztát volt az NPC idegrendszeri tüneteinek kezelésére engedélyezett egyetlen gyógyszer.

A fő vizsgálatban felmerült néhány bizonytalanság ellenére – mint például a kezelés viszonylag rövid időtartama a hosszú távú alkalmazásra szánt gyógyszer esetében – az Aqneursa az NPC idegrendszeri tüneteinek javulását eredményezte, beleértve a mozgást és a koordinációt érintő tüneteket is.

Ezenkívül a kezelést abbahagyó betegek tünetei jelentősen súlyosbodtak. Az engedélyezés időpontjában az Aqneursa alkalmazásával összefüggő egyetlen mellékhatás a bélgázosság volt.

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy az Aqneursa alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

Milyen intézkedések vannak folyamatban az Aqneursa biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

Az Aqneursa biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

Az Aqneursa alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. Az Aqneursa alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

Az Aqneursa-val kapcsolatos egyéb információ

-án/-én az Aqneursa az Európai Unió egész területére érvényes forgalombahozatali engedélyt kapott.

Az Aqneursa-val kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aqneursa.