



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nezglyal (*leriglitzon*)

A Nezglyal-ra vonatkozó közérthető áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Nezglyal és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Nezglyal-t az agyi adrenoleukodisztrófia kezelésére alkalmazzák olyan 2 és 12 év közötti fiúknál, akiknél 0 vagy 1 neurológiai funkcionális pontszám alapján enyhe tünetek jelentkeznek vagy tünetmentesek.

Olyan betegeknél alkalmazzák, akiknél az agyi léziók nem veszik fel a kontrasztanyagként alkalmazott gadolíniumot (Gd-negatív léziók) az agyról készített MRI-vizsgálatok során, ami arra utal, hogy a betegség a korai szakaszban van.

Az agyi adrenoleukodisztrófia egy genetikai betegség, az úgynevezett adrenoleukodisztrófia egyik formája, amelynek során a „nagyon hosszú láncú zsírsavak” néven ismert zsírvegyületek felhalmozódnak a test szöveteiben, főként az agyban, a gerincvelőben és a mellékvesékben (a vesék fölött elhelyezkedő két mirigyben). Agyi adrenoleukodisztrófia esetén ezen anyagok felhalmozódása az agyban a szigetelő és az idegsejtek általi jelátvitelt segítő feladatot ellátó védőhüvely (mielin) gyulladásához és leépüléséhez vezet.

Mivel az agyi adrenoleukodisztrófia „ritkának” minősül, ezért a Nezglyal-t 2016. november 18-án az adrenoleukodisztrófia kezelése tekintetében „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az EMA [honlapján](#) található.

A Nezglyal hatóanyaga a leriglitzon.

Hogyan kell alkalmazni a Nezglyal-t?

A Nezglyal csak receptre kapható, és a kezelést olyan orvos kezdheti meg és felügyelheti, aki tapasztalattal rendelkezik az olyan betegségek kezelésében, amelyekben a központi idegrendszer sejtjei leállnak vagy elpusztulnak.

A gyógyszer szuszpenzió formájában kapható, amelyet szájon át, naponta egyszer kell bevenni. Az adagot a gyermek testmagassága és testsúlya alapján kell kiszámítani.

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



A Nezglyal-kezelés megkezdése előtt és a kezelés alatt az orvos rendszeres vérvizsgálatokat végez annak ellenőrzésére, hogy mennyire működik jól a beteg mája. Szükség lehet a kezelés átmeneti felfüggesztésére, ha a vizsgálatok a beteg májfunkciójával kapcsolatos problémákat mutatnak.

A Nezglyal alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan fejti ki hatását a Nezglyal?

A Nezglyal hatóanyaga, a leriglitazon azáltal fejti ki hatását, hogy a sejtek belsejében, így az idegsejtekben is megtalálható, „PPAR-gamma receptoroknak” nevezett receptorokhoz (célpontokhoz) kötődik, és aktiválja azokat. A PPAR-gamma receptorok szerepet játszanak a mitokondriumok (a sejtekben található energiatermelő struktúrák) működésének, valamint annak a szabályozásában, hogy a sejtek hogyan reagálnak az oxidatív stresszre (a szabad gyököknek nevezett toxikus oxigéntartalmú molekulák által okozott károsodásra) és a gyulladásra. Ezért a leriglitazonról azt várják, hogy a gyulladás csökkentése, a mitokondriumok működésének javítása és a szabad gyökök által okozott károsodás elleni védelem révén védi az idegsejteket a károsodástól.

Milyen előnyei voltak a Nezglyal alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy fő vizsgálatban 23, agyi adrenoleukodisztrófiában szenvedő, 2 és 12 év közötti fiú vett részt, beleértve a Gd-pozitív vagy Gd-negatív agyi léziókban szenvedőket is. A szokásos ellátás mellett minden beteg Nezglyal-t, és megfelelő esetben vérképzőőssejt-transzplantációt (HSCT) is kapott a vizsgálat során bármikor. A HSCT egy olyan eljárás, amelynek során a beteg őssejteket kap, hogy segítsék a csontvelőt egészséges vérsejtek termelésében. A Nezglyal-t nem hasonlították össze más kezeléssel. 96 hét elteltével vagy a HSCT előtti vizit során a betegek 35%-ánál (20-ból 7 olyan betegnél, akiről elegendő adatot gyűjtöttek) tartóztatták fel (leállították) a betegség súlyosbodását, szemben a várható 10%-os betegségeleállási aránnyal, amennyiben a betegség természetes úton továbbterjed. A Nezglyal-lal leállított betegek többségénél (7-ből 6-nál) a kezelés kezdetén Gd-negatív agyi léziók alakultak ki.

A Nezglyal-lal végzett vizsgálatok részletesebb leírása a gyógyszer értékelő jelentésében található.

Milyen mellékhatásokkal és korlátozásokkal jár a Nezglyal alkalmazása?

A Nezglyal alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Nezglyal leggyakoribb mellékhatásai (10 gyermek közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet) a megnövekedett testtömeg, a szemhéj-ödéma (folyadék-visszatartás miatti duzzanat), a leukopénia (a fehérvérsejtek alacsony szintje) és a neutropénia (a fehérvérsejtek egy típusa, a neutrofilok alacsony szintje, amelyek a fertőzések ellen védenek).

A Nezglyal nem alkalmazható olyan személyeknél, akik túlérzékenyek (allergiásak) a tiazolidindion tartalmú gyógyszerekkel szemben, amelyeket a 2-es típusú cukorbetegség kezelésére alkalmaznak. A gyógyszer nem alkalmazható olyan személyeknél sem, akiknél szívelégtelenség áll fenn vagy korábban előfordult.

Miért engedélyezték a Nezglyal forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az engedélyezés időpontjában nem voltak engedélyezett gyógyszerek a Gd-negatív agyi adrenoleukodiszfóriában, egy nagyon ritka, gyorsan progresszív betegségben szenvedő betegek kezelésére. Progresszív (súlyosbodó) agyi adrenoleukodiszfória (általában Gd-pozitív léziókkal) esetében az egyetlen lehetséges kezelési lehetőség a HSCT.

A Nezglyal hatásosnak bizonyult a betegség progressziójának megakadályozásában agyi adrenoleukodiszfóriában szenvedő, Gd-negatív léziókban szenvedő gyermekeknél, akik a betegség egy korai stádiumában vannak, ahol a kezelés várhatóan a legnagyobb hosszú távú előnyt nyújtja. Biztonságossági szempontból a mellékhatások kezelhetőnek tekinthetők.

Döntése meghozatalakor az Európai Gyógyszerügynökség figyelembe vette a betegképviselői szervezetek és az egészségügyi szakmai szervezetek észrevételeit is.

Az Ügynökség megállapította, hogy a Nezglyal alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

A Nezglyal forgalomba hozatalát kivételes körülmények között engedélyezték. Ennek ok az, hogy az agyi adrenoleukodiszfória kezelésére nagy a kielégítetlen egészségügyi szükséglet, és a betegség alacsony előfordulási aránya miatt nem lehetett teljes körű információt gyűjteni a Nezglyal-ról. A vállalatnak további adatokat kell szolgáltatnia a Nezglyal-ra vonatkozóan. A vállalatnak be kell nyújtania a gyógyszer biztonságosságát tanulmányozó vizsgálat eredményeit, valamint a Nezglyal hosszú távú hatásosságára vonatkozó, nyilvántartáson alapuló vizsgálat eredményeit. A vállalatnak emellett évente naprakész tájékoztatást kell nyújtania a gyógyszer biztonságosságára és hatásosságára vonatkozó új információkról. Az Ügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Nezglyal biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

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

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

A Nezglyal-lal kapcsolatos egyéb információ

A Nezglyal-lal kapcsolatban további információk, a betegtájékoztatót és az értékelő jelentést is beleértve, az Ügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nezglyal.

Amennyiben tájékozódni szeretne arról, hogy a gyógyszer elérhető-e az Ön országában, vegye fel a kapcsolatot az [illetékes nemzeti hatósággal](#).