



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Aqneursa (*levacetilleucinas*)

Aqneursa apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Aqneursa ir kam jis vartojamas?

Aqneursa – tai vaistas, kuriuo gydomi C tipo Nimana-Piko (*Niemann-Pick*) (CNP) ligos neurologiniai simptomai (galvos smegenis ir nervus pažeidžiantys simptomai), pasireiškiantys suaugusiesiems ir vaikams nuo 6 metų, sveriantiems ne mažiau kaip 20 kg.

CNP yra paveldima liga, pažeidžianti organizmo gebėjimą pernešti riebalus ląstelių viduje. Laikui bėgant šie riebalai kaupiasi galvos smegenų ląstelėse ir kitose nervų sistemos dalyse, todėl ląstelės tinkamai nefunkcionuoja ir galiausiai žūsta. Dėl to pasireiškia tokie simptomai kaip, pavyzdžiui, pusiausvyros, judesių ir rijimo sutrikimai, neaiški kalba ir nekontroliuojamas drebulys.

Aqneursa vartojamas kartu su migliustatu – kitu vaistu, kuriuo gydomi CNP neurologiniai simptomai. Šį vaistą taip pat galima vartoti vieną, jei gydymas migliustatu sukelia tokį šalutinį poveikį, dėl kurio vaistas netinka pacientui.

CNP liga laikoma reta, todėl 2017 m. kovo 20 d. Aqneursa buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams galima rasti EMA [interneto svetainėje](#).

Aqneursa sudėtyje yra veikliosios medžiagos levacetilleucino.

Kaip vartoti Aqneursa?

Aqneursa galima įsigyti tik pateikus receptą. Šis vaistas tiekiamas paketėliuose su granulėmis, kurias sumaišius su vandeniu gaunama suspensija. Ją reikia gerti 2–3 kartus per parą. Suspensiją taip pat galima duoti per maitinimo vamzdelį.

Vaisto dozė nustatoma pagal paciento kūno svorį. Daugiau informacijos apie Aqneursa vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Aqneursa?

CNP sukelia genų, kurie „nurodo“ gaminti baltymus, vadinamus CNP1 ir CNP2, pokyčiai (mutacijos). Šie baltymai paprastai dalyvauja riebalus pernešant iš lizosomų (ląstelių viduje esančių mažų maišelių, kuriuose skaidomos didelės molekulės, pvz., riebalai) į kitas ląstelės dalis. CNP sergančių žmonių CNP1 arba CNP2 tinkamai nefunkcionuoja, todėl riebalai kaupiasi lizosomose, pažeisdami ląsteles.

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



Kaip tiksliai veikia Aqneursa veiklioji medžiaga levacetilleucinas, nėra visiškai aišku. Tačiau tyrimų su gyvūnais duomenys leidžia manyti, kad ši medžiaga gali padėti koreguoti ląstelių gebėjimą generuoti energiją, įskaitant ląstelių gebėjimą gaminti adenosiną trifosfatą, kuris yra pagrindinis galvos smegenų ląstelių, kontroliuojančių judėjimą ir pusiausvyrą, energijos šaltinis.

Kokia Aqneursa nauda nustatyta tyrimų metu?

Atliekant pagrindinį tyrimą su 60 suaugusiųjų ir ne jaunesnių kaip 6 metų vaikų, sveriančių ne mažiau kaip 20 kg, nustatyta, kad, palyginti su placebo (preparatu be veikliosios medžiagos), taikant gydymą Aqneursa pagerėjo pacientų judėjimas, koordinacija ir gebėjimas atlikti kasdienes užduotis.

Tyrime pacientai pirmąsias 12 savaičių buvo gydomi Aqneursa arba placebo; 51 iš 60 pacientų taip pat buvo skiriamas migliustatas. Pasibaigus šiam laikotarpiui, šių grupių pacientai perėjo prie gydymo kitu iš tų dviejų preparatų. Aqneursa gydytiems pacientams dar 12 savaičių buvo skiriamas placebo, o placebo vartojusiems pacientams – Aqneursa. Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo balo pokytis pagal Ataksijos vertinimo ir įvertinimo balais skalę (angl. *Scale for the Assessment and Rating of Ataxia*, SARA). Pagal SARA skalę vertinama, koku mastu ataksija (sutrikimas, dėl kurio sutrinka raumenų koordinacija) veikia žmogaus judesius, koordinaciją ir gebėjimą atlikti kasdienes užduotis. Skalę sudaro balai nuo 0 (nėra ataksijos) iki 40 (sunki ataksija); sumažėję balai rodo, kad ligos simptomai gerėja.

Apskritai, Aqneursa gydomų pacientų vertinimas pagal SARA skalę sumažėjo vidutiniškai maždaug 2 balais, o vartojant placebo – 0,6 balo. Be to, nutraukus pacientų, kuriems iš pradžių buvo skiriamas Aqneursa ir tada placebo, gydymą šiuo vaistu, SARA balas pablogėjo.

Kokia rizika susijusi su Aqneursa vartojimu?

Išsamų visų Aqneursa šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Dažniausias Aqneursa šalutinis poveikis (galintis pasireikšti rečiau kaip 1 žmogui iš 10) yra dujų kaupimasis.

Kodėl Aqneursa buvo registruotas ES?

CNP yra reta, pavojų gyvybei kelianti liga, kurios gydymo galimybės yra ribotos. Aqneursa registracijos metu vienintelis pagal CNP neurologinių simptomų gydymo indikaciją įregistruotas vaistas buvo migliustatas.

Nepaisant tam tikrų pagrindinio tyrimo neaiškumų, pavyzdžiui, palyginti trumpos gydymo vaistu, kuris numatytas vartoti ilgą laiką, trukmės, vartojant Aqneursa pagerėjo CNP neurologiniai simptomai, įskaitant poveikį judėjimui ir koordinacijai turinčius simptomus. Be to, pacientų, kurių gydymas buvo nutrauktas, simptomai gerokai pasunkėjo. Registracijos metu vienintelis Aqneursa šalutinis poveikis buvo dujų kaupimasis.

Todėl Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Aqneursa nauda yra didesnė už jo keliamą riziką ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Aqneursa vartojimą?

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Aqneursa vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Aqneursa vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Įtariamas Aqneursa šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Aqneursa

Aqneursa buvo registruotas visoje ES

Daugiau informacijos apie Aqneursa rasite Agentūros tinklalapyje adresu:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aqneursa.