



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nezglyal (*leriglitazonas*)

Paprasta kalba parengta Nezglyal apžvalga ir paaiškinimas, kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Nezglyal ir kam jis vartojamas?

Nezglyal – tai vaistas, kuriuo gydomi smegenų adrenoleukodistrofija sergantys 2–12 metų berniukai, kurių neurologinės funkcijos balas yra lygus 0 arba 1, ir jiems pasireiškia lengvi simptomai arba nepasireiškia jokių simptomų.

Jis skiriamas pacientams, kurių smegenų pažaidos neabsorbuoja kontrastinės medžiagos gadolinio (Gd neigiamos pažaidos) atliekant MRT galvos smegenų tyrimą, o tai rodo, kad liga yra ankstyvoje stadijoje.

Smegenų adrenoleukodistrofija yra genetinės ligos, vadinamos adrenoleukodistrofija, forma, kai kūno audiniuose, daugiausia galvos smegenyse, stuburo smegenyse ir antinksčių liaukose (dviejose liaukose virš inkstų) ima kauptis riebiosios medžiagos, vadinamos „labai ilgos grandinės riebalų rūgštimis“. Sergant smegenų adrenoleukodistrofija, šių medžiagų kaupimasis galvos smegenyse sukelia apsauginio apvalkalo (mielino), izoliuojančio nervines ląsteles ir padedančio joms perduoti signalus, uždegimą ir nykimą.

Smegenų adrenoleukodistrofija yra reta liga, todėl 2016 m. lapkričio 18 d. Nezglyal buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai pagal adrenoleukodistrofijos gydymo indikaciją. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams galima rasti EMA [interneto svetainėje](#).

Nezglyal sudėtyje yra veikliosios medžiagos leriglitazono.

Kaip vartoti Nezglyal?

Nezglyal galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą turi pradėti ir stebėti gydytojas, turintis ligų, kuriomis sergant centrinės nervų sistemos ląstelės nustoja veikti arba žūsta, gydymo patirties.

Vaistas tiekiamas geriamosios suspensijos, kurią reikia vartoti kartą per parą, forma. Vaisto dozė nustatoma pagal vaiko ūgį ir svorį.

Prieš pradėdamas gydymą Nezglyal ir gydymo laikotarpiu gydytojas reguliariai atliks kraujo tyrimus, kad patikrintų, ar paciento kepenys tinkamai funkcionuoja. Gydymą gali tekti laikinai nutraukti, jei tyrimais nustatoma paciento kepenų veiklos sutrikimų.

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



Daugiau informacijos apie Nezglyal vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Nezglyal?

Nezglyal veikioji medžiaga leriglitazonas jungiasi prie receptorių (taikinių), vadinamų PPAR gama receptoriais, kurių yra ląstelėse, įskaitant nervų ląsteles, ir juos aktyvina. PPAR gama receptoriai atlieka svarbų vaidmenį reguliuojant mitochondrijų (energijos gamybos ląstelėse struktūrų) funkciją, t. y. kaip ląstelės reaguoja į oksidacinį stresą (toksiškų deguonies turinčių molekulių, vadinamų laisvaisiais radikalais, sukeltą žalą) ir uždegimą. Todėl buvo tikimasi, kad leriglitazonas apsaugos nervines ląsteles nuo pažeidimo, sumažindamas uždegimą, pagerindamas mitochondrijų veikimą ir apsaugodamas nuo žalingo laisvųjų radikalų poveikio.

Kokia Nezglyal nauda nustatyta tyrimų metu?

Pagrindiniame tyrime dalyvavo 23 2–12 metų berniukai, sergantys smegenų adrenoleukodistrofija, įskaitant tuos, kuriems buvo nustatyta gadolinio teigiamų arba gadolinio neigiamų smegenų pažaidų. Visiems pacientams, be įprastinės standartinės priežiūros, buvo skiriamas Nezglyal, o pacientams, kurie atitiko tinkamumo kriterijus, bet kuriuo tyrimo metu buvo atlikta kraujodaros kamieninių ląstelių transplantacija (KKLT). KKLT – tai procedūra, kurios metu pacientui persodinamos kamieninės ląstelės, siekiant padėti kaulų čiulpams gaminti sveikas kraujo ląsteles. Nezglyal nebuvo lyginamas su kitu vaistu. Po 96 savaitų arba iki vizito prieš kraujodaros kamieninių ląstelių transplantaciją ligos progresavimas buvo sustabdytas 35 proc. pacientų (7 iš 20 pacientų, apie kuriuos buvo surinkta pakankamai duomenų). Palyginimui, jei liga būtų progresavusi natūraliai, tikėtasi, kad ligos progresavimas būtų sustojęs 10 proc. pacientų. Gydomo pradžioje daugumai (6 iš 7) pacientų, kuriems buvo taikomas gydymas Nezglyal, buvo nustatyta gadolinio neigiamų smegenų pažaidų.

Su Nezglyal atlikti tyrimai išsamiau aprašyti vaisto vertinimo protokole.

Koks yra Nezglyal šalutinis poveikis ir kokie yra jo vartojimo apribojimai?

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

Dažniausias Nezglyal šalutinis poveikis (galintis pasireikšti ne daugiau kaip 1 vaikui iš 10) yra padidėjęs svoris, akių vokų edema (patinimas dėl skysčių sulaikymo), leukopenija (sumažėjęs baltųjų kraujo ląstelių kiekis) ir neutropenija (sumažėjęs su infekcija kovojančių baltųjų kraujo ląstelių neutrofilų kiekis).

Nezglyal negalima vartoti esant padidėjusiam jautrumui (alergijai) vaistams, kurių sudėtyje yra tiazolidinediono ir kurie vartojami II tipo diabetui gydyti. Jo taip pat negalima vartoti žmonėms, kurie serga arba anksčiau sirgo širdies nepakankamumu.

Kodėl Nezglyal buvo registruotas ES?

Registracijos metu nebuvo registruotų vaistų, kuriais būtų galima gydyti pacientus, sergančius labai reta ir sparčiai progresuojančia liga – Gd neigiama smegenų adrenoleukodistrofija. Vienintelis galimas progresuojančios (sunkėjančios) smegenų adrenoleukodistrofijos (paprastai su Gd teigiama pažaida) gydymo būdas yra KKLT.

Įrodyta, kad Nezglyal veiksmingai stabdo smegenų adrenoleukodistrofija sergančių vaikų, kuriems diagnozuotos Gd neigiamos pažaidos, ligos progresavimą ankstyvoje ligos stadijoje, kai manoma, kad gydymas duos didžiausią ilgalaikę naudą. Saugumo požiūriu laikomasi nuomonės, kad šio vaisto sukeltą šalutinį poveikį galima kontroliuoti.

Priimdama sprendimą, Europos vaistų agentūra taip pat atsižvelgė į pacientų organizacijų ir sveikatos priežiūros specialistų organizacijų nuomonę.

Agentūra nusprendė, kad Nezglyal nauda yra didesnė už jo keliamą riziką ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Nezglyal registruotas išimtinėmis sąlygomis. Taip yra todėl, kad yra didelis nepatenkintas medicininis poreikis gydyti smegenų adrenoleukodistrofiją ir dėl ligos retumo nebuvo įmanoma gauti išsamios informacijos apie Nezglyal. Bendrovė turi pateikti papildomų duomenų apie Nezglyal. Ji turi pateikti vaisto saugumo tyrimo rezultatus, taip pat registro duomenimis pagrįsto ilgalaikio Nezglyal veiksmingumo tyrimo rezultatus. Bendrovė taip pat privalo kasmet teikti atnaujintą informaciją apie vaisto saugumą ir veiksmingumą. Agentūra kasmet peržiūrės visą naujai gautą informaciją.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Nezglyal vartojimą?

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

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

Kita informacija apie Nezglyal

Daugiau informacijos apie Nezglyal, įskaitant pakuotės lapelį ir vertinimo protokolą, rasite Agentūros tinklalapyje adresu: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nezglyal.

Norėdami sužinoti, ar šis vaistas prieinamas jūsų šalyje, kreipkitės į savo [nacionalinę kompetentingą instituciją](#).