



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Aqneursa (*levacetilleicīns*)

Aqneursa pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir *Aqneursa* un kāpēc tās lieto?

Aqneursa ir zāles, ko lieto, lai ārstētu C tipa Nīmaņa-Pika (*NPC*) slimības neiroloģiskus simptomus (kas ietekmē smadzenes un nervus) pieaugušajiem un bērniem no sešu gadu vecuma, kuri sver vismaz 20 kg.

NPC ir iedzimta slimība, kas ietekmē organisma spēju vadīt taukus šūnās. Laika gaitā šie tauki uzkrājas smadzeņu šūnās un citās nervu sistēmas daļās, kā rezultātā šūnas vairs nedarbojas pareizi un galu galā iet bojā. Tas izraisa tādus simptomus kā līdzsvara, kustību un rīšanas traucējumus, neskaidru runu un nekontrolējamu trīci.

Aqneursa tiek lietotas kombinācijā ar miglustatu – citām zālēm *NPC* neiroloģisko simptomu ārstēšanai. Tās var lietot arī vienas pašas, ja ārstēšana ar miglustatu ir izraisījusi blakusparādības, kas padara tās nepiemērotas pacientam.

NPC ir "reta", un 2017. gada 20. martā *Aqneursa* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama EMA [tīmekļa vietnē](#).

Aqneursa satur aktīvo vielu levacetilleicīnu.

Kā lieto *Aqneursa*?

Aqneursa var iegādāties tikai pret recepti. Zāles ir pieejamas kā maisiņi, kas satur granulas, kuras tiek sajauktas ar ūdeni, lai pagatavotu suspensiju, kas jālieto iekšķīgi 2 līdz 3 reizes dienā. Suspensiju var ievadīt arī ar barošanas cauruli.

Deva ir atkarīga no pacienta ķermeņa masas. Papildu informāciju par *Aqneursa* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

Kā *Aqneursa* darbojas?

NPC izraisa izmaiņas (mutācijas) gēnos, kas sniedz norādījumus par proteīnu, ko dēvē par *NPC1* un *NPC2*, sintēzi. Šie proteīni parasti ir iesaistīti tauku vadīšanā no lizosomām (nelieli maisiņi šūnās, kas noārda lielas molekulas, piemēram, taukus) uz citām šūnu daļām. Cilvēkiem ar *NPC*, *NPC1* vai *NPC2* nedarbojas pareizi, kā rezultātā lizosomās uzkrājas tauki, kas ir kaitīgi šūnām.

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



Nav precīzi zināms, kā darbojas *Aqneursa* aktīvā viela levacetilleicīns. Tomēr pētījumi ar dzīvniekiem liecina, ka tas var palīdzēt korigēt šūnu spēju ražot enerģiju. Tas ietver šūnu spēju veidot adenoīna trifosfātu, kas ir galvenais enerģijas avots smadzeņu šūnām, kuras kontrolē kustību un līdzsvaru.

Kādi *Aqneursa* ieguvumi atklāti pētījumos?

Pamatpētījumā, kurā piedalījās 60 pieaugušie un bērni no 6 gadu vecuma, kuri svēra vismaz 20 kg, ārstēšana ar *Aqneursa* uzlaboja viņu kustības, koordināciju un spēju veikt ikdienas uzdevumus salīdzinājumā ar placebo (fiktīvu ārstēšanu).

Pētījumā pacienti pirmo 12 nedēļu laikā saņēma vai nu *Aqneursa*, vai placebo, un 51 no 60 dalībniekiem saņēma arī ārstēšanu ar miglustatu. Pēc šā perioda grupas mainījās; pacientiem, kurus ārstēja ar *Aqneursa*, saņēma placebo, un pacientiem, kuri lietoja placebo, deva *Aqneursa* vēl 12 nedēļas. Galvenais efektivitātes rādītājs bija izmaiņas ataksijas (SARA) vērtēšanas un klasifikācijas skalā. SARA rādītājs mēra, cik lielā mērā cilvēka kustību, koordināciju un spēju veikt ikdienas darbības ietekmē ataksija (stāvoklis, kas izraisa muskuļu koordinācijas zudumu). Skalas diapazons ir no 0 (nav ataksijas) līdz 40 (smaga ataksija); personas rādītāja samazināšanās nozīmē, ka simptomi mazinās.

Kopumā ārstēšana ar *Aqneursa* nodrošināja vidējo SARA rādītāja samazinājumu par aptuveni 2 punktiem, salīdzinot ar samazinājumu par 0,6 punktiem, lietojot placebo. Turklāt tiem, kuri saņēma *Aqneursa* un pēc tam pārgāja uz placebo, pēc ārstēšanas ar šīm zālēm pārtraukšanas SARA rādītājs pasliktinājās.

Kāds risks pastāv, lietojot *Aqneursa*?

Pilnu visu ziņoto blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot *Aqneursa*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Visbiežākās *Aqneursa* blakusparādības (kas var rasties līdz 1 no 10 cilvēkiem) ir līdzenums (gāze).

Kāpēc *Aqneursa* ir reģistrētas ES?

NPC ir reta, dzīvībai bīstama slimība ar ierobežotām ārstēšanas iespējām. *Aqneursa* apstiprināšanas laikā vienīgās zāles, kas tika reģistrētas NPC neiroloģisko simptomu ārstēšanai, bija miglustats.

Neskatoties uz dažām neskaidrībām galvenajā pētījumā, piemēram, relatīvi īso ilgtermiņa lietošanai paredzētu zāļu terapijas ilgumu, *Aqneursa* izraisīja NPC neiroloģisko simptomu uzlabošanos, tostarp to simptomu uzlabošanos, kas ietekmē kustību un koordināciju. Turklāt pacientiem, kuri pārtrauca ārstēšanu, simptomi ievērojami pasliktinājās. Apstiprināšanas laikā vienīgā *Aqneursa* blakusparādība bija gāzu uzkrāšanās.

Tādēļ Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Aqneursa*, pārsniedz šo zāļu radīto risku un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Aqneursa* lietošanu?

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Aqneursa* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Aqneursa* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Aqneursa* lietošanu saistītās iespējamās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Aqneursa*

Aqneursa saņēma reģistrācijas apliecību, kas derīga visā ES

Sīkāka informācija par *Aqneursa* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:

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