



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nezglyal (*leriglitas*)

Pārskats vienkāršā valodā par *Nezglyal* un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir *Nezglyal* un kāpēc tās lieto?

Nezglyal ir zāles, ko lieto cerebrālās adrenoleikodistrofijas ārstēšanai zēniem no divu līdz 12 gadu vecumam ar viegliem simptomiem vai bez tiem, pamatojoties uz neiroloģisko funkcionālo rādītāju 0 vai 1.

Tās lieto pacientiem, kuriem smadzeņu bojājumi neuzņem kontrastvielu gadolīniju (Gd-negatīvus bojājumus) smadzeņu magnētiskās rezonanses skenēšanas laikā, kas liecina, ka slimība ir agrīnā stadijā.

Cerebrālā adrenoleikodistrofija ir iedzimtas slimības veids, ko sauc par adrenoleikodistrofiju, kuras gadījumā taukvielas, kas pazīstamas kā "ļoti garas ķēdes taukskābes", uzkrājas ķermeņa audos, galvenokārt galvas smadzenēs, muguras smadzenēs un virsnieru dziedzeros (divos dziedzeros, kas atrodas virs nierēm). Cerebrālās adrenoleikodistrofijas gadījumā šo vielu uzkrāšanās smadzenēs izraisa iekaisumu un iznīcina aizsargapvalku (mielīnu), kas izolē un palīdz signāla pārraidei ar nervu šūnu palīdzību.

Cerebrālā adrenoleikodistrofija ir "reta" slimība, un 2016. gada 18. novembrī *Nezglyal* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss adrenoleikodistrofijas ārstēšanai. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama EMA [tīmekļa vietnē](#).

Nezglyal satur aktīvo vielu leriglitasonu.

Kā lieto *Nezglyal*?

Nezglyal var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana ir jāsāk un jāuzrauga ārstam ar pieredzi tādu slimību ārstēšanā, kuru gadījumā centrālās nervu sistēmas šūnas pārstāj darboties vai iet bojā.

Zāles ir pieejamas kā suspensija iekšķīgai lietošanai vienreiz dienā. Devu nosaka, pamatojoties uz bērna augumu un svaru.

Pirms *Nezglyal* lietošanas uzsākšanas un ārstēšanas laikā ārsts regulāri veiks asins analīzes, lai pārbaudītu, cik labi darbojas pacienta aknas. Ja analīzēs konstatē aknu darbības traucējumus, šiem pacientiem var nākties uz laiku pārtraukt ārstēšanu.

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



Papildu informāciju par *Nezglyal* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

Kā *Nezglyal* darbojas?

Nezglyal aktīvā viela leriglitazons darbojas, piesaistoties receptoriem (mērķiem), ko dēvē par "PPAR gamma receptoriem", kas atrodas šūnās, tostarp nervu šūnās, un aktivizējot tos. PPAR gamma receptoriem ir nozīme mitohondriju (šūnās esošu enerģiju ražojošu struktūru) funkcijas regulēšanā, kā šūnas reaģē uz oksidatīvo stresu (kaitējumu, ko izraisa toksiskas skābekļa saturošas molekulas, kas pazīstamas kā brīvie radikāļi) un iekaisumu. Tādēļ bija paredzēts, ka leriglitazons aizsargās nervu šūnas no bojājumiem, samazinot iekaisumu, uzlabojot mitohondriju darbību un aizsargājot pret bojājumiem no brīvajiem radikāļiem.

Kādi *Nezglyal* ieguvumi atklāti pētījumos?

Pamatpētījumā piedalījās 23 zēni no divu līdz 12 gadu vecumam ar cerebrālo adrenoleikodistrofiju, tostarp zēni ar Gd-pozitīviem vai Gd-negatīviem smadzeņu bojājumiem. Visi pacienti papildus standarta aprūpei un, ja tas bija iespējams, hematopoētisko cilmes šūnu transplantācijai (HCŠT) saņēma *Nezglyal* jebkurā pētījuma laikā. HCŠT ir procedūra, kuras laikā pacients saņem cilmes šūnas, lai palīdzētu kaulu smadzenēm ražot veselīgas asins šūnas. *Nezglyal* netika salīdzinātas ar citu terapiju. Pēc 96 nedēļām vai pirms HCŠT apmeklējuma slimības progresēšana tika apturēta (noapaļota) 35 % pacientu (7 no 20, par kuriem bija savākti pietiekami dati), salīdzinot ar paredzamo slimības aresta rādītāju 10 % apmērā, ja slimība turpinātos dabiski. Lielākajai daļai pacientu (6 no 7), kuriem slimība bija apturēta ar *Nezglyal*, ārstēšanas sākumā bija Gd negatīvi smadzeņu bojājumi.

Pētījumi, kas veikti ar *Nezglyal*, ir sīkāk aprakstīti zāļu novērtējuma ziņojumā.

Kādas ir *Nezglyal* blakusparādības un ierobežojumi?

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

Visbiežākās *Nezglyal* blakusparādības (kas var rasties līdz 1 no 10 bērniem) ir svara pieaugums, plakstiņu tūska (pietūkums šķidruma aiztures dēļ), leikopēnija (zems balto asins šūnu līmenis) un neitropēnija (zems neitrofilu, t. i., balto asins šūnu, kas cīnās pret infekciju, līmenis).

Nezglyal nedrīkst lietot cilvēki ar paaugstinātu jutību (alerģiju) pret tiazolidinedionu saturošām zālēm, ko lieto 2. tipa diabēta ārstēšanai. Tās nedrīkst lietot arī cilvēki, kuriem ir vai iepriekš ir bijusi sirds mazspēja.

Kāpēc *Nezglyal* ir reģistrētas ES?

Apstiprināšanas laikā nebija reģistrētu zāļu, lai ārstētu pacientus ar Gd-negatīvu cerebrālo adrenoleikodistrofiju, ļoti retu un ātri progresējošu slimību. Vienīgā iespējamā ārstēšanas iespēja progresīvai (pasliktinošai) smadzeņu adrenoleikodistrofijai (parasti ar Gd-pozitīviem bojājumiem) ir HCŠT.

Ir pierādīts, ka *Nezglyal* efektīvi arestē slimības progresēšanu bērniem ar cerebrālu adrenoleikodistrofiju, kuriem ir Gd-negatīvi bojājumi — agrīna slimības stadija, kurā paredzams, ka ārstēšana nodrošinās vislielāko ilgtermiņa ieguvumu. Drošuma ziņā blakusparādības tiek uzskatītas par kontrolējamām.

Pieņemot lēmumu, Eiropas Zāļu aģentūra ņēma vērā arī pacientu organizāciju un veselības aprūpes profesionālo organizāciju sniegto informāciju.

Aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Nezglyal*, pārsniedz šo zāļu radīto risku un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

Nezglyal ir reģistrētas ārkārtas apstākļos. Tas ir tāpēc, ka pastāv liela neapmierināta medicīniska vajadzība ārstēt cerebrālo adrenoleikodistrofiju un slimības retuma dēļ nav bijis iespējams iegūt pilnīgu informāciju par *Nezglyal*. Uzņēmumam ir jāsniedz papildu dati par *Nezglyal*. Tam jāiesniedz tāda pētījuma rezultāti, kurā vērtēts zāļu drošums, kā arī tāda uz reģistriem balstīta pētījuma rezultāti, kurā pētīta *Nezglyal* ilgtermiņa efektivitāte. Uzņēmumam arī katru gadu jāsniedz jaunākā informācija par zāļu drošumu un efektivitāti. Aģentūra katru gadu pārskatīs visu pieejamo jauno informāciju.

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

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

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

Cita informācija par *Nezglyal*

Sīkāka informācija par *Nezglyal*, tostarp lietošanas instrukcija un novērtējuma ziņojums ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nezglyal.

Lai iegūtu informāciju par šo zāļu pieejamību jūsu valstī, sazinieties ar attiecīgās [valsts kompetento iestādi](#).