



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Aqneursa (*levacetylleucine*)

Ħarsa ġenerali lejn Aqneursa u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Aqneursa u għal xiex jintuża?

Aqneursa huwa medċina li tintuża għat-trattament ta' sintomi newroloġiċi (sintomi li jaffettwaw il-moħħ u n-nervituri) tal-marda ta' Niemann-Pick tat-tip Ċ (NPC) f'adulti u tfal ta' 6 snin u aktar li jiżnu mill-inqas 20 kg.

NPC hija marda ereditarja li taffettwa l-kapaċità tal-ġisem li jittrasporta x-xaħmijiet ġewwa ċ-ċelloli. Maż-żmien, dawn ix-xaħmijiet jakkumulaw fiċ-ċelloli tal-moħħ u f'partijiet oħrajn tas-sistema nervuża, u dan iwassal sabiex iċ-ċelloli jieqfu jaħdmu kif suppost u eventwalment imutu. Dan iwassal għal sintomi bħal problemi bil-bilanċ, bil-moviment u biex tibla', diskors mhux ċar u roġha li ma jistgħux jiġu kkontrollati.

Aqneursa jintuża f'kombinazzjoni ma' miglustat, medċina oħra għat-trattament tas-sintomi newroloġiċi ta' NPC. Jista' jintuża wkoll waħdu jekk it-trattament b'miglustat ikun ikkawża effetti sekondarji li jagħmluh mhux xieraq għall-pazjent.

NPC hija rari, u Aqneursa ġie denominat bħala "medċina orfni" (medċina li tintuża f'mard rari) fl-20 ta' Marzu 2017. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjonijiet orfni tinstab fuq is-[sit web](#) tal-EMA.

Aqneursa fih is-sustanza attiva levacetylleucine.

Kif jintuża Aqneursa?

Aqneursa jista' jinkiseb biss b'riċetta ta' tabib. Il-medċina tiġi bħala qratas li fihom granuli li jiġihalltu mal-ilma biex issir sospensjoni, li għandha tittiehed mill-ħalq minn darbtejn sa tliet darbiet kuljum. Is-sospensjoni tista' tingħata wkoll permezz ta' tubu tal-ikel.

Id-doża tiddependi fuq il-piż tal-ġisem tal-pazjent. Għal aktar informazzjoni dwar l-użu ta' Aqneursa, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispiżjar tiegħek.

Kif jaħdem Aqneursa?

NPC hija kkawżata minn bidliet (mutazzjonijiet) fil-ġeni li jipprovdu struzzjonijiet għall-produzzjoni tal-proteini msejja NPC1 u NPC2. Dawn il-proteini huma normalment involuti fit-trasport tax-xaħmijiet mil-lizożomi (boroż żgħir fiċ-ċelloli li jkissru molekuli kbar bħax-xaħmijiet) lejn partijiet oħra taċ-

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



ċellola. F'persuni b'NPC, NPC1 jew NPC2 ma jaħdmux sew, u dan iwassal għal akkumulazzjoni ta' xaħam fil-liżożomi li huwa ta' ħsara għaċ-ċelloli.

Il-mod eżatt kif taħdem is-sustanza attiva f'Aqneursa, il-levacetylleucine, mhuwiex magħruf. Madankollu, l-istudji fl-animali jissuggerixxu li dan jista' jgħin sabiex tiġi kkoreġuta l-kapaċità taċ-ċelloli li jiġġeneraw l-enerġija. Dan jinkludi l-kapaċità taċ-ċelloli li jipproduċu trifosfat tal-adenożina, is-sors ewlieni ta' enerġija għaċ-ċelloli fil-moħħ li jikkontrollaw il-moviment u l-bilanċ.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Aqneursa li ħarġu mill-istudji?

Fi studju ewlieni li kien jinvolvi 60 adult u tfal minn 6 snin 'il fuq li kienu jiżnu mill-inqas 20 kg, it-trattament b'Aqneursa rriżulta f'titjib fil-moviment, fil-koordinazzjoni u fil-kapaċità tagħhom li jwettqu kompiti ta' kuljum meta mqabbla ma' placebo (trattament fint).

Fl-istudju, il-pazjenti ngħataw jew Aqneursa jew placebo għall-ewwel 12-il ġimgħa; 51 mis-60 partecipant kienu qed jingħataw ukoll trattament b'miglustat. Wara dan il-perjodu, il-gruppi qalbu; il-pazjenti ttrattati b'Aqneursa ngħataw placebo, u dawk li kienu qed jieħdu placebo ngħataw Aqneursa għal 12-il ġimgħa oħra. Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien il-bidla fl-iskala għall-valutazzjoni u l-klassifikazzjoni tal-punteġġ ta' atassija (SARA). Il-punteġġ SARA jkejjel kemm il-moviment, il-koordinazzjoni kif ukoll il-kapaċità ta' persuna li twettaq kompiti ta' kuljum huma affettwati mill-atassija (kundizzjoni li tikkawża telf ta' koordinazzjoni tal-muskoli). L-iskala tvarja minn 0 (l-ebda atassija) sa 40 (atassija severa); tnaqqis fil-punteġġ ta' persuna jfisser li s-sintomi tagħha qed jitjiebu.

B'mod ġenerali, it-trattament b'Aqneursa rriżulta fi tnaqqis medju ta' madwar 2 punti fil-punteġġ SARA, meta mqabbel ma' tnaqqis ta' 0.6 bil-placebo. Barra minn hekk, dawk li ngħataw Aqneursa u mbagħad qalbu għall-placebo esperjenzaw aggravar tal-punteġġ SARA tagħhom wara li waqqfu t-trattament bil-medicina.

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Aqneursa?

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet b'Aqneursa, ara l-fuljett ta' tagħrif.

L-effett sekondarju l-aktar komuni b'Aqneursa (li jista' jaffettwa sa persuna 1 minn kull 10) huwa flatulenza (gass).

Għaliex Aqneursa ġie awtorizzat fl-UE?

NPC hija kundizzjoni rari ta' theddida għall-ħajja b'għażliet ta' trattament limitati. Fiż-żmien tal-approvazzjoni ta' Aqneursa, l-unika medicina awtorizzata għat-trattament tas-sintomi newroloġiċi ta' NPC kienet miglustat.

Minkejja xi incertezzi fl-istudju ewlieni, bħat-tul ta' trattament relattivament qasir għal medicina maħsuba għal użu fit-tul, Aqneursa rriżulta f'titjib fis-sintomi newroloġiċi ta' NPC, inklużi dawk li jaffettwaw il-moviment u l-koordinazzjoni. Barra minn hekk, dawk li waqqfu t-trattament kellhom aggravar sinifikanti tas-sintomi tagħhom. Fiż-żmien tal-approvazzjoni, l-uniku effett sekondarju assoċjat ma' Aqneursa kien il-flatulenza.

L-Aġenzija Ewropea għall-Medicini għaldaqstant iddeċidiet li l-benefiċċji ta' Aqneursa huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

X'mizuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Aqneursa?

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi r-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzzjonijiet li għandhom jiġu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Aqneursa.

Bħal fil-każ tal-medicini kollha, id-*data* dwar l-użu ta' Aqneursa hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji ssuspettati rrapportati b'Aqneursa huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tippoteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Aqneursa

Aqneursa rċieva awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq valida fl-UE kollha fi

Aktar informazzjoni dwar Aqneursa tinstab fis-sit web tal-Aġenzija:

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