



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nezglyal (*leriglitzone*)

Ħarsa ġenerali b'lingwaġġ sempliċi lejn Nezglyal u għalfajn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Nezglyal u għal xiex jintuża?

Nezglyal huwa mediċina li tintuża għat-trattament ta' adrenoleukodistrofija ċerebrali f'subien minn sentejn sa 12-il sena li għandhom sintomi ħfief jew l-ebda sintomu, abbażi ta' punteġġ funzjonali newroloġiku ta' 0 jew 1.

Jintuża f'pazjenti li l-leżjonijiet fil-moħħ tagħhom ma jiġdux l-aġent ta' kuntrast gadolinju (leżjonijiet negattivi għal Gd) matul scans tal-moħħ tal-MRI, li jindikaw li l-marda tinsab fl-istadji bikrija.

Adrenoleukodistrofija ċerebrali hija forma ta' marda ġenetika msejġha adrenoleukodistrofija li fiha s-sustanzi xaħmin magħrufa bħala "aċidi grassi b'katina twila ħafna" jakkumulaw fit-tessuti madwar il-ġisem, prinċipalment fil-moħħ, fis-sinsla tad-dahar u fil-glandoli adrenali (żewġ glandoli li jinsabu fuq il-kliwi). Fl-adrenoleukodistrofija ċerebrali, l-akkumulazzjoni ta' dawn is-sustanzi fil-moħħ tikkawża infjammazzjoni u qerda tal-kisja protettiva (majelina) li tiżola u tgħin fis-sinjalar miċ-ċelloli tan-nervituri.

L-adrenoleukodistrofija ċerebrali hija rari u Nezglyal ġie denominat bħala "mediċina orfni" (mediċina li tintuża f'mard rari) fit-18 ta' Novembru 2016 għat-trattament tal-adrenoleukodistrofija. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjonijiet orfni tinstab fuq is-[sit web](#) tal-EMA.

Nezglyal fih is-sustanza attiva leriglitzone.

Kif jintuża Nezglyal?

Nezglyal jista' jinkiseb biss b'riċetta ta' tabib u t-trattament għandu jinbeda u jiġi ssorveljat minn tabib b'esperjenza fl-immaniġġjar ta' mard li fih iċ-ċelloli tas-sistema nervuża ċentrali jieqfu jaħdmu jew imutu.

Il-mediċina tiġi bħala sospensjoni li għandha tittieħed mill-ħalq darba kuljum. Id-doża hija bbażata fuq it-tul u l-piż tat-tifel/tifla.

Qabel ma jibda Nezglyal u matul it-trattament, it-tabib iwettaq testijiet tad-demmm regolari biex jivverifika kemm qed jaħdem tajjeb il-fwied tal-pazjent. Jista' jkun meħtieġ li jitwaqqaf it-trattament temporanjament jekk it-testijiet juru problemi bil-funzjoni tal-fwied tal-pazjent.

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



Għal aktar informazzjoni dwar l-użu ta' Nezglyal, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispjazzar tiegħek.

Kif jaħdem Nezglyal?

Is-sustanza attiva f'Nezglyal, il-leriglitazone, taħdem billi teħel ma' u riċetturi (miri) imsejha "riċetturi gamma PPAR" u tattivahom, li jinsabu fiċ-ċelloli, inklużi ċ-ċelloli tan-nervituri. Ir-riċetturi gamma PPAR għandhom rwol fir-regolamentazzjoni tal-funzjoni tal-mitokondriji (strutturi li jipproduċu l-enerġija fiċ-ċelloli), kif iċ-ċelloli jirrispondu għal stress ossidattiv (ħsara kkawżata minn molekuli tossiċi li fihom l-ossigenu magħrufa bħala radikali liberi) u infjammazzjoni. Għaldaqstant, Leriglitazone huwa mistenni li jipproteġi ċ-ċelloli tan-nervituri mill-ħsara billi jnaqqas l-infjammazzjoni, itejjeb il-funzjoni tal-mitokondriji u jipproteġi kontra ħsara minn radikali liberi.

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

Studju ewlieni kien jinvolvi 23 tifel minn 2 sa 12-il sena b'adrenoleukodistrofija ċerebrali, inklużi dawk b'leżjonijiet tal-moħħ pożittivi għal Gd jew negattivi għal Gd. Il-pazjenti kollha ngħataw Nezglyal flimkien mat-trattament standard tagħhom u, jekk eliġibbli, trapjant ta' ċelloli staminali ematopojetici (HSCT) fi kwalunkwe ħin matul l-istudju. L-HSCT huwa proċedura fejn il-pazjent jirċievi ċelloli staminali sabiex jgħinu lill-mudullun jipproduċi ċelloli tad-demm f'saħħithom. Nezglyal ma tqabbilx ma' trattament ieħor. Wara 96 ġimgħa jew biż-żjara qabel l-HSCT, id-deterjorament tal-marda twaqqaf f'35 % tal-pazjenti (7 minn 20 li għalihom ingabret *data* suffiċjenti), meta mqabbel ma' rata mistennija ta' twaqqif tal-marda ta' 10 % jekk il-marda tithalla tipprogressa b'mod naturali. Il-biċċa l-kbira tal-pazjenti (6 minn 7) li kellhom twaqqif tal-marda b'Nezglyal kellhom leżjonijiet fil-moħħ negattivi għal Gd fil-bidu tat-trattament.

L-istudji li twettqu b'Nezglyal huma deskritti f'aktar dettall fir-rapport ta' valutazzjoni tal-medicina.

X'inhuma l-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet b'Nezglyal?

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

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Nezglyal (li jistgħu jaffettwaw sa tifel/tifla 1 minn kull 10) jinkludu żieda fil-piż, edema tal-kappell tal-għajn (nefha minħabba żamma tal-fluwidi), lewkopenija (livelli baxxi ta' ċelloli bojod tad-demm) u newtrogenija (livelli baxxi ta' newtrofili, tip ta' ċellola bajda tad-demm li tigġielel l-infezzjoni).

Nzglyal ma għandux jintuża minn persuni li għandhom ipersensittività (allergija) għal medicini li fihom it-thiazolidinedione, li jintużaw fit-trattament tad-dijabete tat-tip 2. Lanqas m'għandu jintuża minn persuni li għandhom, jew li kellhom preċedement, insuffiċjenza kardijaka.

Għaliex Nezglyal huwa awtorizzat fl-UE?

Fiż-żmien tal-approvazzjoni, ma kien hemm l-ebda medicina awtorizzata biex tittratta pazjenti b'adrenoleukodistrofija ċerebrali negattiva għal Gd, marda rari ħafna li tavvanza b'mod rapidu. L-unika għażla ta' trattament potenzjali għal adrenoleukodistrofija ċerebrali progressiva (li tmur għall-aġġar) (normalment b'leżjonijiet pożittivi għall-Gd) hija l-HSCT.

Nezglyal wera li huwa effettiv biex jikkontrolla l-progressjoni tal-marda fi tfal b'adrenoleukodistrofija ċerebrali li għandhom leżjonijiet negattivi għall-Gd, stadju bikri tal-marda li fih it-trattament hija mistennija li toffri l-akbar benefiċċju fit-tul. F'termini ta' sigurtà, l-effetti sekondarji huma kkunsidrati maniġġabbli.

Sabiex tilhaq id-deċiżjoni tagħha, l-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini kkunsidrat ukoll il-kontribut tal-organizzazzjonijiet tal-pazjenti u tal-professjonisti tal-kura tas-saħħa.

L-Aġenzija ddeċidiet li l-benefiċċji ta' Nezglyal huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

Nezglyal ġie awtorizzat taht ċirkostanzi ta' eċċezzjoni. Dan minħabba li hemm ħtieġa medika għolja mhux issodisfata għat-trattament tal-adrenoleukodistrofija ċerebrali u ma kienx possibbli li tinkiseb informazzjoni sħiħa dwar Nezglyal minħabba r-rarità tal-marda. Il-kumpanija għandha tipprovdi aktar *data* dwar Nezglyal. Għandha tissottometti r-riżultati ta' studju li jhares lejn is-sigurtà tal-mediċina kif ukoll ir-riżultati ta' studju bbażat fuq ir-reġistru dwar l-effikaċja fit-tul ta' Nezglyal. Il-kumpanija għandha tipprovdi wkoll aġġornamenti annwali dwar kwalunkwe informazzjoni ġdida dwar is-sigurtà u l-effikaċja tal-mediċina. Kull sena, l-Aġenzija se tirrieżamina kwalunkwe informazzjoni ġdida li ssir disponibbli.

X'miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Nezglyal?

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

Bħal fil-każ tal-mediċini kollha, id-*data* dwar l-użu ta' Nezglyal tiġi ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji ssuspettati rrapportati bi Nezglyal huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tiproteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Nezglyal

Aktar informazzjoni dwar Nezglyal, inkluż il-fuljett ta' tagħrif u r-rapport ta' valutazzjoni, tinstab fis-sit web tal-Aġenzija: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nezglyal.

Għal informazzjoni dwar id-disponibbiltà ta' din il-mediċina f'pajjiżek, ikkuntattja lill-[awtorità nazzjonali kompetenti](#) tiegħek.