



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Aqneursa (*levacetylleucine*)

Een overzicht van Aqneursa en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Aqneursa en wanneer wordt het voorgeschreven?

Aqneursa is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van neurologische symptomen (symptomen die de hersenen en zenuwen treffen) van de ziekte van Niemann-Pick type C (NPC) bij volwassenen en kinderen van 6 jaar en ouder met een lichaamsgewicht van ten minste 20 kg.

NPC is een erfelijke ziekte die het vermogen van het lichaam aantast om vetten in cellen te vervoeren. Na verloop van tijd stapelen deze vetten zich op in cellen van de hersenen en andere delen van het zenuwstelsel, waardoor die cellen niet meer goed kunnen werken en uiteindelijk afsterven. Dit leidt tot symptomen zoals problemen met evenwicht bewaren, bewegen en slikken, alsook mompelen en ongecontroleerd beven.

Aqneursa wordt gebruikt in combinatie met miglustat, een ander geneesmiddel voor de behandeling van neurologische symptomen van NPC. Het middel kan ook als monotherapie worden gebruikt als behandeling met miglustat in het verleden bijwerkingen heeft veroorzaakt die dit middel ongeschikt maken voor de patiënt.

NPC is zeldzaam, en Aqneursa werd op 20 maart 2017 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u op de [website](#) van het Europees Geneesmiddelenbureau.

Aqneursa bevat de werkzame stof levacetylleucine.

Hoe wordt Aqneursa gebruikt?

Aqneursa is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar. Het geneesmiddel is verkrijgbaar in sachets met granulaat dat met water wordt gemengd om een suspensie te bereiden, die twee- tot driemaal daags via de mond moet worden ingenomen. De suspensie kan ook worden toegediend via een voedingssonde.

De dosis is afhankelijk van het lichaamsgewicht van de patiënt. Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Aqneursa.

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



Hoe werkt Aqneursa?

NPC wordt veroorzaakt door veranderingen (mutaties) in genen die instructies geven voor de aanmaak van de eiwitten NPC1 en NPC2. Deze eiwitten spelen normaal gezien een rol bij het vervoeren van vetten uit lysosomen (kleine zakjes in cellen die grote moleculen zoals vetten afbreken) naar andere delen van de cel. Bij mensen met NPC werkt NPC1 of NPC2 niet naar behoren, waardoor vet zich opstapelt in lysosomen. Dat is schadelijk voor de cellen.

Het is niet bekend hoe de werkzame stof in Aqneursa, levacetylleucine, precies werkt. Dieronderzoek lijkt er echter op te wijzen dat het middel kan helpen om het vermogen van cellen om energie op te wekken te herstellen. Dat omvat ook het vermogen van de cellen om adenosinetrifosfaat aan te maken, wat de belangrijkste energiebron is voor hersencellen die beweging en evenwicht controleren.

Welke voordelen bleek Aqneursa tijdens de studies te hebben?

In een hoofdstudie onder 60 volwassenen en kinderen van 6 jaar en ouder die ten minste 20 kg wogen, leidde behandeling met Aqneursa tot betere resultaten wat betreft bewegingsvrijheid, coördinatie en vermogen om alledaagse taken uit te voeren ten opzichte van placebo (een schijnbehandeling).

In de studie kregen patiënten de eerste twaalf weken Aqneursa of placebo toegediend; 51 van de 60 deelnemers werden daarnaast ook behandeld met miglustat. Na deze periode wisselden de groepen voor nog eens twaalf weken; patiënten die met Aqneursa waren behandeld, kregen placebo en degenen die placebo hadden gebruikt kregen Aqneursa. De voornaamste graadmeter voor de werkzaamheid was de verandering op de schaal voor de beoordeling en indeling van ataxie (de SARA-score). De SARA-score meet in hoeverre iemands bewegingen, coördinatie en vermogen om dagelijkse taken uit te voeren worden beïnvloed door ataxie (een aandoening die verlies van spiercoördinatie veroorzaakt). De schaal gaat van 0 (geen ataxie) tot 40 (ernstige ataxie); een daling van de score betekent dat de symptomen verbeteren.

Over het geheel genomen resulteerde behandeling met Aqneursa in een gemiddelde daling van ongeveer 2 punten in de SARA-score, tegenover een daling van 0,6 punt bij placebo. Bovendien trad bij degenen die eerst Aqneursa kregen en vervolgens op placebo overschakelden na stopzetting van de behandeling met het geneesmiddel een verslechtering van de SARA-score op.

Welke risico's houdt het gebruik van Aqneursa in?

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van de bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Aqneursa.

De meest voorkomende bijwerking van Aqneursa (die bij maximaal 1 op de 10 personen kan optreden) is flatulentie (winderigheid).

Waarom is Aqneursa geregistreerd in de EU?

NPC is een zeldzame, levensbedreigende aandoening met beperkte behandelingsopties. Ten tijde van de goedkeuring van Aqneursa was miglustat het enige toegelaten geneesmiddel voor de behandeling van neurologische symptomen van NPC.

Ondanks enkele punten van onzekerheid in de hoofdstudie, zoals de relatief korte behandelingsduur voor een geneesmiddel dat is bedoeld voor langdurig gebruik, leidde Aqneursa tot verbeteringen in neurologische symptomen van NPC, waaronder symptomen die van invloed zijn op het bewegings- en coördinatievermogen. Bovendien trad bij personen die met de behandeling stopten een significante

verergering van de symptomen op. Op het moment van goedkeuring was de enige bijwerking van Aqneursa flatulentie.

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft daarom geconcludeerd dat de voordelen van Aqneursa groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Aqneursa te waarborgen?

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Aqneursa, zijn opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Aqneursa continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Aqneursa worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Aqneursa

Op <datum> is een in de hele EU geldige vergunning voor het in de handel brengen van Aqneursa verleend.

Meer informatie over Aqneursa is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aqneursa.