



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Aqneursa (*lewacetyloleucyna*)

Przegląd wiedzy na temat leku Aqneursa i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Aqneursa i w jakim celu się go stosuje

Lek Aqneursa jest stosowany w leczeniu objawów neurologicznych (wpływających na mózg i nerwy) w przebiegu choroby Niemann-Picka typu C (NPC) u osób dorosłych i dzieci w wieku od 6 lat o masie ciała wynoszącej co najmniej 20 kg.

NPC jest chorobą dziedziczną, która wpływa na zdolność organizmu do transportowania tłuszczów wewnątrz komórek. Z czasem tłuszcze te gromadzą się w komórkach mózgu i innych części układu nerwowego, wskutek czego takie komórki przestają prawidłowo funkcjonować i w końcu obumierają. Prowadzi to do wystąpienia objawów, takich jak problemy z równowagą, poruszaniem się i przełykaniem, niewyraźna mowa i nieopanowane drżenie.

Lek Aqneursa stosuje się w skojarzeniu z miglustatem, innym lekiem stosowanym w leczeniu neurologicznych objawów NPC. Lek można również stosować w monoterapii, jeśli miglustat wywołał działania niepożądane, które czynią takie leczenie nieodpowiednim dla pacjenta.

Ze względu na to, że NPC jest chorobą rzadko występującą, w dniu 20 marca 2017 r. lek Aqneursa uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierociego można znaleźć na [stronie internetowej](https://www.ema.europa.eu/en/what-we-do/our-work/our-work-in-the-field-of-rare-diseases) EMA.

Substancją czynną zawartą w leku Aqneursa jest lewacetyloleucyna.

Jak stosować lek Aqneursa

Lek wydawany na receptę. Lek ma postać saszetek zawierających granulat, który miesza się z wodą, a powstałą zawiesinę należy przyjmować doustnie 2–3 razy na dobę. Zawiesinę można również podawać przez zgłębnik.

Wielkość dawki zależy od masy ciała pacjenta. Więcej informacji o sposobie stosowania leku Aqneursa znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

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](https://www.ema.europa.eu/en/how-to-find-us)

Send us a question Go to [www.ema.europa.eu/contact](https://www.ema.europa.eu/en/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Jak działa lek Aqneursa

Przyczyną NPC są zmiany (mutacje) w genach zawierających instrukcje wytwarzania białek zwanych NPC1 i NPC2. Białka te zwykle uczestniczą w transporcie tłuszczów z lizosomów (niewielkich struktur komórkowych, które rozkładają duże cząsteczki, takie jak tłuszcze) do innych części komórki. U osób z NPC białka NPC1 bądź NPC2 nie funkcjonują prawidłowo, co prowadzi do gromadzenia się tłuszczu w lizosomach i jest szkodliwe dla komórek.

Dokładny sposób działania substancji czynnej zawartej w leku Aqneursa, lewacetyloleucyny, nie jest znany. Jednak badania na zwierzętach sugerują, że może ona poprawiać zdolność komórek do wytwarzania energii. Obejmuje to zdolność komórek do wytwarzania adenozynotrifosforanu, czyli głównego źródła energii dla komórek w mózgu, które kontrolują ruch i równowagę.

Korzyści ze stosowania leku Aqneursa wykazane w badaniach

W badaniu głównym z udziałem 60 osób dorosłych i dzieci w wieku od 6 lat o masie ciała co najmniej 20 kg podawanie leku Aqneursa spowodowało poprawę sprawności ruchowej, koordynacji i zdolności do wykonywania codziennych czynności w porównaniu z placebo (leczeniem pozorowanym).

W badaniu pacjentom podawano lek Aqneursa albo placebo przez pierwszych 12 tygodni; 51 z 60 uczestników otrzymywało również leczenie miglustatem. Po tym okresie grupy się zamieniły – pacjenci, którzy dotychczas otrzymywali lek Aqneursa, przeszli na placebo, a ci, którzy otrzymywali placebo, przeszli na lek Aqneursa na kolejne 12 tygodni. Głównym kryterium oceny skuteczności była zmiana w skali oceny i klasyfikacji ataksji (SARA). Skala SARA mierzy wpływ ataksji (utruty koordynacji mięśni) na poruszanie się, koordynację i zdolność do wykonywania codziennych czynności. Skala zawiera się między 0 (brak ataksji) a 40 (ciężka ataksja). Spadek wyniku oznacza złagodzenie objawów.

Ogólnie rzecz biorąc, stosowanie leku Aqneursa powodowało średnie zmniejszenie wyniku w skali SARA o około 2 punkty, w porównaniu ze zmniejszeniem o 0,6 punktu w przypadku placebo. Ponadto u osób, które otrzymywały lek Aqneursa, a następnie przeszły na placebo, wynik w skali SARA uległ pogorszeniu.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Aqneursa

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Aqneursa znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Najczęstsze działanie niepożądane związane ze stosowaniem leku Aqneursa (mogące wystąpić u 1 na 10 pacjentów) to wzdęcia (gazy).

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Aqneursa w UE

NPC to rzadka, zagrażająca życiu choroba o ograniczonych możliwościach leczenia. W momencie zatwierdzenia leku Aqneursa jedynym lekiem dopuszczonym do stosowania w leczeniu objawów neurologicznych NPC był miglustat.

Pomimo pewnych wątpliwości w badaniu głównym, takich jak stosunkowo krótki czas stosowania leku przeznaczonego do długotrwałego stosowania, lek Aqneursa powodował złagodzenie objawów neurologicznych w przebiegu NPC, w tym tych wpływających na ruch i koordynację. Ponadto u osób, które przerwały leczenie, wystąpiło istotne pogorszenie objawów. W momencie dopuszczenia leku Aqneursa do obrotu jedynym działaniem niepożądanym związanym z jego stosowaniem były wzdęcia.

Europejska Agencja Leków uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Aqneursa przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Aqneursa

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Aqneursa w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Aqneursa są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Aqneursa są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Aqneursa

Lek Aqneursa otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia

Dalsze informacje dotyczące leku Aqneursa znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aqneursa.