



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nezglyal (*leriglitzon*)

Przegląd wiedzy na temat leku Nezglyal i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE w przystępnym języku

Czym jest lek Nezglyal i w jakim celu się go stosuje

Nezglyal jest lekiem stosowanym w leczeniu adrenoleukodystrofii mózgowej u chłopców w wieku od 2 do 12 lat z łagodnymi objawami lub bez objawów, których wynik oceny funkcji neurologicznych wynosi 0 lub 1.

Lek stosuje się u pacjentów, u których zmiany w mózgu nie wykazują wzmocnienia po podaniu środka kontrastowego gadolinu (zmiany Gd-ujemne) podczas badania mózgu metodą rezonansu magnetycznego, co wskazuje na wczesne stadium choroby.

Adrenoleukodystrofia mózgowa to postać choroby genetycznej zwanej adrenoleukodystrofią, w której substancje tłuszczowe zwane „długo-łańcuchowymi kwasami tłuszczowymi” gromadzą się w tkankach organizmu, głównie w mózgu, rdzeniu kręgowym i nadnerczach (dwóch gruczołach położonych nad nerkami). W adrenoleukodystrofii mózgowej nagromadzenie tych substancji w mózgu powoduje stan zapalny i zniszczenie osłonki ochronnej (mieliny), która izoluje i pomaga w przekazywaniu sygnałów przez komórki nerwowe.

Ze względu na to, że adrenoleukodystrofia mózgowa jest chorobą rzadko występującą, w dniu 18 listopada 2016 r. lek Nezglyal uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w leczeniu adrenoleukodystrofii. Więcej informacji o przyznaniu statusu leku sierocego można znaleźć na [stronie internetowej](#) EMA.

Substancją czynną zawartą w leku Nezglyal jest leriglitzon.

Jak stosować lek Nezglyal

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien rozpoczynać i nadzorować lekarz z doświadczeniem w leczeniu chorób, w których komórki ośrodkowego układu nerwowego przestają działać lub obumierają.

Lek jest dostępny w postaci zawiesiny do podawania doustnego raz na dobę. Dawka zależy od wzrostu i masy ciała dziecka.

Przed rozpoczęciem stosowania leku Nezglyal i w trakcie leczenia lekarz będzie regularnie wykonywać badania krwi w celu sprawdzenia czynności wątroby pacjenta. Jeśli wyniki badań wykażą zaburzenia czynności wątroby pacjenta, może zaistnieć konieczność tymczasowego przerwania leczenia.

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



Więcej informacji o sposobie stosowania leku Nezglyal znajduje się w ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Nezglyal

Substancja czynna leku Nezglyal, leriglitazon, działa poprzez przyłączanie się do znajdujących się w komórkach, także nerwowych, receptorów (celów) zwanych receptorami gamma PPAR i aktywowanie ich. Receptory PPAR gamma odgrywają rolę w regulacji funkcji mitochondriów (struktur wytwarzających energię w komórkach), sposobu, w jaki komórki reagują na stres oksydacyjny (uszkodzenia spowodowane przez toksyczne cząsteczki zawierające tlen, znane jako wolne rodniki) i stan zapalny. W związku z tym należy się spodziewać, że leriglitazon będzie chronił komórki nerwowe przed uszkodzeniem poprzez złagodzenie stanu zapalnego, poprawę funkcjonowania mitochondriów i ochronę przed uszkodzeniem przez wolne rodniki.

Korzyści ze stosowania leku Nezglyal wykazane w badaniach

W badaniu głównym uczestniczyło 23 chłopców w wieku od 2 do 12 lat z adrenoleukodystrofią mózgową, w tym ze zmianami mózgowymi Gd-dodatnimi lub Gd-ujemnymi. Wszyscy pacjenci otrzymywali lek Nezglyal w ramach standardowego leczenia, a pacjenci spełniający kryteria kwalifikacji mogli w dowolnym momencie badania zostać poddani przeszczepieniu krwiotwórczych komórek macierzystych (ang. *haematopoietic stem cell transplant*, HSCT). HSCT jest procedurą, w ramach której pacjent otrzymuje komórki macierzyste, aby pomóc szpikowi kostnemu w wytwarzaniu zdrowych komórek krwi. Leku Nezglyal nie porównywano z żadnym innym leczeniem. Po 96 tygodniach lub podczas wizyty poprzedzającej HSCT zahamowanie progresji choroby (zatrzymanie jej postępu) uzyskano u 35% pacjentów (7 z 20, dla których zebrano wystarczające dane), w porównaniu z oczekiwanym odsetkiem zahamowania progresji wynoszącym 10% w przypadku naturalnego przebiegu choroby. U większości pacjentów (6 z 7), u których stosowanie leku Nezglyal doprowadziło do zahamowania progresji choroby, na początku leczenia występowały Gd-ujemne zmiany w mózgu.

Badania dotyczące leku Nezglyal opisano bardziej szczegółowo w sprawozdaniu oceniającym lek.

Działania niepożądane i ograniczenia związane ze stosowaniem leku Nezglyal

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

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Nezglyal (mogące wystąpić u 1 na 10 dzieci) to: zwiększona masa ciała, obrzęk powiek (opuchlizna spowodowana zatrzymaniem płynów), leukopenia (niski poziom krwinek białych) i neutropenia (niski poziom neutrofilów, rodzaju krwinek białych zwalczających zakażenia).

Leku Nezglyal nie wolno stosować u osób z nadwrażliwością (alergią) na leki zawierające tiazolidynedion, które są stosowane w leczeniu cukrzycy typu 2. Leku nie wolno również stosować u osób z niewydolnością serca lub u których wcześniej występowała niewydolność serca.

Podstawy dopuszczenia leku Nezglyal do obrotu w UE

W momencie wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu nie były dostępne żadne zatwierdzone leki stosowane w leczeniu pacjentów z Gd-ujemną mózgową adrenoleukodystrofią, bardzo rzadką i szybko postępującą chorobą. Jedyną potencjalną metodą leczenia postępującej (pogarszającej się) mózgowej adrenoleukodystrofii (zwykle ze zmianami Gd-dodatnimi) jest HSCT.

Wykazano, że lek Nezglyal skutecznie hamuje progresję choroby u dzieci z mózgową adrenoleukodystrofią i zmianami Gd-ujemnymi, czyli we wczesnym stadium choroby, w którym leczenie powinno przynieść największe długoterminowe korzyści. Pod względem bezpieczeństwa, działania niepożądane uznaje się za możliwe do opanowania.

Podejmując decyzję, Europejska Agencja Leków uwzględniła również opinie organizacji pacjentów oraz organizacji zrzeszających pracowników ochrony zdrowia.

Agencja uznała, że korzyści ze stosowania leku Nezglyal przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Lek Nezglyal został dopuszczony do obrotu w wyjątkowych okolicznościach. Wynika to z faktu, że istnieje wysoka niezaspokojona potrzeba medyczna w leczeniu adrenoleukodystrofii mózgowej i nie można było uzyskać wyczerpujących informacji o leku Nezglyal z uwagi na rzadkie występowanie choroby. Firma musi dostarczyć dodatkowe dane o leku Nezglyal. Firma musi przedłożyć wyniki badania dotyczącego bezpieczeństwa stosowania leku, a także wyniki badania rejestrowego dotyczącego długoterminowej skuteczności leku Nezglyal. Firma musi również co roku przekazywać aktualne informacje na temat bezpieczeństwa i skuteczności leku. Co roku Agencja dokona przeglądu wszelkich nowych informacji, które będą dostępne.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Nezglyal

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Nezglyal 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 Nezglyal są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Nezglyal są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje o leku Nezglyal

Dalsze informacje o leku Nezglyal, w tym ulotka dla pacjenta i sprawozdanie oceniające, znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nezglyal.

W celu uzyskania informacji o dostępności tego leku w danym kraju należy skontaktować się z [właściwym organem krajowym](#).