



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Aqneursa (*levacetilleucina*)

Um resumo sobre Aqneursa e por que está autorizado na UE

O que é Aqneursa e para que é utilizado?

Aqneursa é um medicamento utilizado no tratamento de sintomas neurológicos (sintomas que afetam o cérebro e os nervos) da doença de Niemann-Pick tipo C (NPC) em adultos e crianças com idade igual ou superior a 6 anos que pesam pelo menos 20 kg.

A NPC é uma doença hereditária que afeta a capacidade do organismo de transportar gorduras dentro das células. Ao longo do tempo, estas gorduras acumulam-se nas células do cérebro e de outras partes do sistema nervoso, fazendo com que as células deixem de funcionar corretamente e acabem por morrer. Isto leva a sintomas como problemas de equilíbrio, de movimento e de deglutição, fala pouco clara e tremores incontroláveis.

Aqneursa é utilizado em associação com miglustato, outro medicamento para o tratamento dos sintomas neurológicos da NPC. Também pode ser utilizado em monoterapia (medicamento único) se o tratamento com miglustato tiver causado efeitos secundários que o tornem inadequado para o doente.

A NPC é uma doença rara, e Aqneursa foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 20 de março de 2017. Mais informações sobre a designação de medicamento órfão podem ser encontradas no [sítio Web](#) da EMA.

Aqneursa contém a substância ativa levacetilleucina.

Como se utiliza Aqneursa?

Aqneursa só pode ser obtido mediante receita médica. O medicamento está disponível na forma de saquetas que contêm granulado que é misturado com água para preparar uma suspensão, que deve ser tomada por via oral 2 a 3 vezes por dia. A suspensão também pode ser administrada através de uma sonda de alimentação.

A dose a utilizar depende do peso corporal do doente. Para mais informações sobre a utilização de Aqneursa, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Como funciona Aqneursa?

A NPC é causada por alterações (mutações) nos genes que fornecem instruções para a produção de proteínas denominadas NPC1 e NPC2. Estas proteínas estão normalmente envolvidas no transporte de

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



gorduras dos lisossomas (pequenos sacos nas células que decompõem moléculas grandes, como as gorduras) para outras partes da célula. Nas pessoas com NPC, a NPC1 ou a NPC2 não funcionam corretamente, levando a uma acumulação de gordura nos lisossomas que é nociva para as células.

Desconhece-se o modo de funcionamento exato da substância ativa de Aqneursa, a levacetilleucina. No entanto, estudos em animais sugerem que pode ajudar a corrigir a capacidade das células para produzir energia. Isto inclui a capacidade das células de produzir trifosfato de adenosina, a principal fonte de energia das células do cérebro que controlam o movimento e o equilíbrio.

Quais os benefícios demonstrados por Aqneursa durante os estudos?

Num estudo principal que incluiu 60 adultos e crianças com idade igual ou superior a 6 anos que pesavam pelo menos 20 kg, o tratamento com Aqneursa resultou em melhorias no seu movimento, coordenação e capacidade de realizar tarefas quotidianas, em comparação com o placebo (um tratamento simulado).

No estudo, os doentes receberam Aqneursa ou placebo durante as primeiras 12 semanas; 51 dos 60 participantes também receberam tratamento com miglustato. Após este período, os grupos mudaram; os doentes tratados com Aqneursa receberam placebo e os que estavam a tomar placebo receberam Aqneursa durante mais 12 semanas. O principal parâmetro de eficácia foi a alteração na pontuação da escala para a avaliação e classificação da ataxia (SARA). A pontuação SARA mede o quanto o movimento, a coordenação e a capacidade de uma pessoa para realizar tarefas quotidianas são afetados pela ataxia (uma doença que causa perda de coordenação muscular). A escala varia de 0 (sem ataxia) a 40 (ataxia grave); uma diminuição da pontuação de uma pessoa significa que os seus sintomas estão a melhorar.

De um modo geral, o tratamento com Aqneursa resultou numa redução média de cerca de 2 pontos na pontuação SARA, em comparação com uma redução de 0,6 com o placebo. Além disso, os doentes que receberam Aqneursa e, em seguida, mudaram para o placebo apresentaram um agravamento da sua pontuação SARA após a descontinuação do tratamento com o medicamento.

Quais são os riscos associados a Aqneursa?

Para a lista completa de efeitos secundários e de restrições de utilização de Aqneursa, consulte o Folheto Informativo.

O efeito secundário mais frequente associado a Aqneursa (que pode afetar 1 em cada 10 pessoas) é a flatulência (gases).

Por que está Aqneursa autorizado na UE?

A NPC é uma doença rara e potencialmente fatal, com opções de tratamento limitadas. No momento da aprovação de Aqneursa, o único medicamento autorizado para o tratamento dos sintomas neurológicos da NPC era o miglustato.

Apesar de algumas incertezas no estudo principal, como a duração relativamente curta do tratamento para um medicamento destinado a utilização prolongada, Aqneursa resultou em melhorias nos sintomas neurológicos da NPC, incluindo os que afetam o movimento e a coordenação. Além disso, os doentes que interromperam o tratamento apresentaram um agravamento significativo dos sintomas. No momento da aprovação, o único efeito secundário associado a Aqneursa era a flatulência.

Por conseguinte, a Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Aqneursa são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Aqneursa?

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Aqneursa.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Aqneursa são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Aqneursa são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Aqneursa

A <data de emissão da Autorização de Introdução no Mercado>, Aqneursa recebeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a UE.

Estão disponíveis mais informações sobre o medicamento no sítio Web da Agência:

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