



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Aqneursa (*levacetilleucină*)

Prezentare generală a Aqneursa și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Aqneursa și pentru ce se utilizează?

Aqneursa este un medicament utilizat pentru tratamentul simptomelor neurologice (simptome care afectează creierul și nervii) ale bolii Niemann-Pick de tip C (NPC) la adulți, copii și adolescenți cu vârsta de cel puțin 6 ani și greutatea de cel puțin 20 kg.

NPC este o boală ereditară care afectează capacitatea organismului de a transporta grăsimi în interiorul celulelor. În timp, aceste grăsimi se acumulează în celulele creierului și în alte părți ale sistemului nervos, cauzând pierderea progresivă a celulelor nervoase. Acest lucru duce la simptome precum probleme de echilibru, coordonare a mișcării, dificultăți la înghițire, vorbire incoerentă și tremurături care nu pot fi ținute sub control.

Aqneursa se utilizează în asociere cu miglustat, alt medicament pentru tratarea simptomelor neurologice ale bolii NPC. Se poate utiliza și în monoterapie dacă tratamentul cu miglustat a cauzat reacții adverse și, prin urmare, nu este tolerat de pacient.

Boala NPC este rară, iar Aqneursa a fost desemnat „medicament orfan” (medicament utilizat în boli rare) la 20 martie 2017. Mai multe informații despre medicamentele desemnate orfane se pot găsi pe [site-ul](#) EMA.

Aqneursa conține substanța activă levacetilleucină.

Cum se utilizează Aqneursa?

Aqneursa se poate obține numai pe bază de prescripție medicală. Medicamentul este disponibil sub formă de plicuri cu granule care se amestecă cu apă pentru a obține o suspensie, care se administrează pe cale orală de 2-3 ori pe zi. Suspensia poate fi administrată și prin sondă de gastrostomie.

Doza depinde de greutatea pacientului. Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Aqneursa, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Aqneursa?

Boala NPC este cauzată de modificări (mutații) ale genelor care oferă instrucțiuni pentru producerea proteinelor numite NPC1 și NPC2. Aceste proteine sunt, în mod normal, implicate în transportul

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



grăsimilor din lizozomi (saci mici în interiorul celulelor organismului care descompun molecule mari, cum ar fi grăsimile) către alte părți ale celulei. La persoanele cu NPC, NPC1 sau NPC2 nu funcționează corespunzător, ceea ce duce la acumularea de grăsimi în lizozomi cu efect dăunător asupra celulelor.

Nu se cunoaște modul exact în care acționează substanța activă din Aqneursa, levacetilleucina. Studiile la animale sugerează însă că aceasta poate contribui la corectarea capacității celulelor de a genera energie, inclusiv capacitatea celulelor de a produce trifosfat de adenosină, principala sursă de energie pentru celulele din creier care controlează mișcarea și echilibrul.

Ce beneficii a prezentat Aqneursa pe parcursul studiilor?

Într-un studiu principal care a cuprins 60 de adulți, adolescenți și copii cu vârsta de 6 ani și peste și greutatea de cel puțin 20 kg, tratamentul cu Aqneursa a avut ca rezultat îmbunătățirea mobilității, a coordonării și a capacității acestora de a efectua sarcinile zilnice, comparativ cu placebo (un preparat inactiv).

În cadrul studiului, pacienților li s-a administrat fie Aqneursa, fie placebo în primele 12 săptămâni; 51 din cei 60 de participanți au primit și tratament cu miglustat. După această perioadă, grupurile au schimbat tratamentul; pacienților tratați cu Aqneursa li s-a administrat placebo, iar celor care luaseră placebo li s-a administrat Aqneursa încă 12 săptămâni. Principala măsură a eficacității a fost modificarea scorului pe scara pentru evaluarea și clasificarea ataxiei (*Scale for the Assessment and Rating of Ataxia* – SARA). Scorul SARA măsoară măsura în care mișcarea, coordonarea și capacitatea unei persoane de a îndeplini sarcini de zi cu zi sunt afectate de ataxie (afecțiune care cauzează pierderea coordonării musculare). Punctajele pe scara de evaluare variază de la 0 (fără ataxie) la 40 (ataxie severă); o scădere a scorului unei persoane înseamnă că simptomele se ameliorează.

În ansamblu, tratamentul cu Aqneursa a dus la o reducere medie de aproximativ 2 puncte a scorului SARA, în comparație cu o reducere de 0,6 cu placebo. În plus, cei cărora li s-a administrat Aqneursa și care au trecut apoi la placebo au înregistrat o înrăutățire a scorului SARA după întreruperea tratamentului cu medicamentul.

Care sunt riscurile asociate cu Aqneursa?

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Aqneursa, citiți prospectul.

Cea mai frecventă reacție adversă asociată cu Aqneursa (care poate afecta cel mult 1 persoană din 10) este flatulența (gaze intestinale).

De ce a fost autorizat Aqneursa în UE?

NPC este o afecțiune rară, care pune viața în pericol și pentru care există opțiuni de tratament limitate. La momentul aprobării Aqneursa, singurul medicament autorizat pentru tratamentul simptomelor neurologice ale NPC era miglustat.

În pofida unor incertitudini din studiul principal, cum ar fi durata relativ scurtă de tratament pentru un medicament destinat utilizării pe termen lung, Aqneursa a dus la ameliorarea simptomelor neurologice ale bolii NPC, inclusiv a celor care afectează mișcarea și coordonarea. În plus, cei care au încetat tratamentul au raportat o înrăutățire semnificativă a simptomelor. La momentul aprobării, singura reacție adversă asociată cu Aqneursa a fost flatulența.

Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Aqneursa sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Aqneursa?

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Aqneursa, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Aqneursa sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Aqneursa sunt evaluate cu atenție și sunt luate toate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Aqneursa

Aqneursa a primit autorizație de punere pe piață, valabilă pe întreg teritoriul UE, la

Mai multe informații despre Aqneursa se pot găsi pe site-ul agenției:

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