



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nezglyal (*leriglitazonă*)

Prezentare generală în limbaj simplu a Nezglyal și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Nezglyal și pentru ce se utilizează?

Nezglyal este un medicament utilizat pentru tratarea adrenoleucodistrofiei cerebrale la băieți cu vârsta cuprinsă între 2 și 12 ani care au simptome ușoare sau nu au niciun simptom, pe baza unui scor funcțional neurologic de 0 sau 1.

Se utilizează la pacienții fără leziuni cu intensificare la substanța de contrast gadolinu (leziuni negative la Gd) în timpul scanărilor cerebrale IRM, ceea ce arată că boala se află în stadii incipiente.

Adrenoleucodistrofia cerebrală este o formă de boală genetică numită adrenoleucodistrofie, în care substanțele grase numite „acizi grași cu lanț foarte lung” se acumulează în țesuturile din corp, mai ales în creier, în măduva spinării și în glandele suprarenale (două glande situate deasupra rinichilor). În adrenoleucodistrofia cerebrală, acumularea acestor substanțe în creier cauzează inflamarea și distrugerea învelișului protector (mielină), care izolează și ajută la semnalizarea celulelor nervoase.

Adrenoleucodistrofia cerebrală este rară, iar Nezglyal a fost desemnat „medicament orfan” (medicament utilizat în boli rare) la 18 noiembrie 2016 pentru tratamentul adrenoleucodistrofiei. Mai multe informații despre medicamentele desemnate orfane se pot găsi pe [site-ul](#) EMA.

Nezglyal conține substanța activă leriglitazonă.

Cum se utilizează Nezglyal?

Nezglyal se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie inițiat și urmărit de un medic cu experiență în gestionarea terapeutică a bolilor în care celulele sistemului nervos central încetează să mai funcționeze sau mor.

Medicamentul este disponibil sub formă de suspensie care se administrează pe cale orală o dată pe zi. Doza se stabilește în funcție de înălțimea și greutatea copilului.

Înainte de începerea tratamentului cu Nezglyal și în timpul tratamentului, medicul va efectua periodic analize de sânge, pentru a verifica cât de bine funcționează ficatul pacientului. Dacă analizele indică probleme ale funcției hepatice a pacientului, poate fi necesară oprirea temporară a tratamentului.

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



Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Nezglyal, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Nezglyal?

Substanța activă din Nezglyal, leriglitazona, acționează legându-se de receptorii (țintele) numiți „receptori PPAR gama”, care se găsesc în interiorul celulelor, inclusiv al celulelor nervoase, și activându-i. Receptorii PPAR gama joacă un rol în reglarea funcției mitocondriilor (structuri care produc energie în celule), a modului în care celulele reacționează la stresul oxidativ (deteriorare cauzată de moleculele toxice care conțin oxigen, numite radicali liberi) și la inflamație. Prin urmare, se preconizează că leriglitazona va proteja celulele nervoase împotriva deteriorării prin reducerea inflamației, îmbunătățirea funcției mitocondriilor și protecția împotriva deteriorării cauzate de radicalii liberi.

Ce beneficii a prezentat Nezglyal pe parcursul studiilor?

Un studiu principal a cuprins 23 de băieți cu vârste cuprinse între 2 și 12 ani cu adrenoleucodistrofie cerebrală, cu leziuni cerebrale pozitive sau negative la Gd. Toți pacienții au primit Nezglyal în plus față de tratamentul standard și, dacă erau eligibili, transplant de celule stem hematopoietice (HSCT) oricând pe durata studiului. HSCT este o procedură prin care pacientul primește celule stem care ajută măduva osoasă să producă celule sanguine sănătoase. Nezglyal nu a fost comparat cu alt tratament. După 96 de săptămâni sau până la vizita dinaintea HSCT, agravarea bolii a fost oprită la 35 % din pacienți (7 din 20 pentru care s-au cules date suficiente), față de o rată preconizată de oprire a bolii de 10 % dacă boala ar fi lăsată să progreseze în mod natural. Majoritatea pacienților (6 din 7) la care boala a fost oprită cu Nezglyal aveau leziuni cerebrale negative la Gd la începutul tratamentului.

Studiile efectuate cu Nezglyal sunt descrise mai detaliat în raportul de evaluare a medicamentului.

Care sunt reacțiile adverse și restricțiile asociate cu Nezglyal?

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

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Nezglyal (care pot afecta cel mult 1 copil din 10) sunt creștere în greutate, edem la pleoape (umflătură cauzată de retenția de lichide), leucopenie (număr mic de globule albe) și neutropenie (număr mic de neutrofile, un tip de globule albe care combat infecțiile).

Nezglyal este contraindicat la persoanele care au hipersensibilitate (alergie) la medicamentele care conțin tiazolidindionă, utilizate pentru tratarea diabetului de tip 2. Este contraindicat și la persoanele care au sau au avut insuficiență cardiacă.

De ce a fost autorizat Nezglyal în UE?

La momentul aprobării nu existau medicamente autorizate pentru tratarea pacienților cu adrenoleucodistrofie cerebrală cu leziuni negative la Gd, o boală foarte rară, cu evoluție rapidă. Singura opțiune de tratament pentru adrenoleucodistrofia cerebrală progresivă (care se agravează) (de obicei cu leziuni pozitive la Gd) este HSCT.

Nezglyal s-a dovedit eficace în oprirea progresiei bolii la copiii cu adrenoleucodistrofie cerebrală care au leziuni negative la Gd, o etapă timpurie a bolii în care se preconizează că tratamentul va da cel mai mare beneficiu pe termen lung. În ceea ce privește siguranța, reacțiile adverse sunt considerate gestionabile terapeutic.

Pentru a lua o decizie, Agenția Europeană pentru Medicamente a luat în considerare, de asemenea, contribuțiile organizațiilor de pacienți și ale organizațiilor profesionale din domeniul sănătății.

Agenția a hotărât că beneficiile Nezglyal sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Nezglyal a fost autorizat în condiții excepționale. Aceasta se datorează faptului că există o nevoie medicală majoră nesatisfăcută pentru tratamentul adrenoleucodistrofiei cerebrale și că nu s-au putut obține informații complete despre Nezglyal din cauza rarității bolii. Compania trebuie să furnizeze date suplimentare despre Nezglyal. Compania trebuie să prezinte rezultatele unui studiu care analizează siguranța medicamentului, precum și rezultatele unui studiu bazat pe registru privind eficacitatea Nezglyal pe termen lung. De asemenea, compania trebuie să furnizeze actualizări anuale cu privire la orice informații noi referitoare la siguranța și eficacitatea medicamentului. În fiecare an, agenția va analiza informațiile nou apărute.

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

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

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

Alte informații despre Nezglyal

Mai multe informații despre Nezglyal, inclusiv prospectul și raportul de evaluare, se pot găsi pe site-ul agenției: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nezglyal.

Pentru informații despre disponibilitatea acestui medicament în țara dumneavoastră, contactați [autoritatea națională competentă](#).