



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Aqneursa (*levacetylleucín*)

Prehľad o lieku Aqneursa a prečo bol povolený v EÚ

### Čo je liek Aqneursa a na čo sa používa?

Aqneursa je liek, ktorý sa používa na liečbu neurologických prejavov (prejavov postihujúcich mozog a nervy) Niemannovej-Pickovej choroby typu C (NPC) u dospelých a detí vo veku od 6 rokov s hmotnosťou najmenej 20 kg.

NPC je dedičné ochorenie, ktoré ovplyvňuje schopnosť tela prenášať tuky vo vnútri buniek. Časom sa tieto tuky hromadia v mozgových bunkách a iných častiach nervovej sústavy, čo spôsobuje, že bunky prestanú správne fungovať a napokon odumierajú. To vedie k prejavom, ako sú napríklad problémy s rovnováhou, pohybom a prehĺtaním, nezrozumiteľná reč a nekontrolovateľné trasenie.

Liek Aqneursa sa používa v kombinácii s miglustatom, ďalším liekom na liečbu neurologických príznakov NPC. Liek sa môže používať aj samostatne v prípade, že liečba miglustatom spôsobila vedľajšie účinky, v dôsledku ktorých pre pacienta nie je vhodný.

NPC je zriedkavé ochorenie, a preto bol liek Aqneursa 20. marca 2017 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia sa nachádzajú na [webovej stránke](#) agentúry EMA.

Liek Aqneursa obsahuje liečivo levacetylleucín.

### Ako sa liek Aqneursa používa?

Výdaj lieku Aqneursa je viazaný na lekársky predpis. Liek je dostupný vo forme vreciek obsahujúcich granuly, ktoré sa zmiešajú s vodou na vytvorenie suspenzie, ktorá sa má užívať ústami 2 až 3-krát denne. Suspenzia sa môže podávať aj cez kŕmiacu hadičku.

Dávka závisí od telesnej hmotnosti pacienta. Viac informácií o používaní lieku Aqneursa si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

### Akým spôsobom liek Aqneursa účinkuje?

NPC je spôsobená zmenami (mutáciami) v génoch, ktoré poskytujú pokyny na tvorbu proteínov nazývaných NPC1 a NPC2. Tieto proteíny sa zvyčajne podieľajú na prenose tukov z lyzozómov (malých včkov v bunkách, ktoré rozkladajú veľké molekuly, napríklad tuky) do iných častí bunky. U osôb

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

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

An agency of the European Union



s NPC, NPC1 alebo NPC2 nefungujú správne, čo vedie k hromadeniu tuku v lyzozómoch, čo je škodlivé pre bunky.

Presný spôsob účinku liečiva lieku Aqneursa, levacetyllecín, nie je známy. Štúdie na zvieratách však naznačujú, že liek môže pomôcť korigovať schopnosť buniek vytvárať energiu. To zahŕňa schopnosť buniek tvoriť adenosíntrifosfát, hlavný zdroj energie pre bunky v mozgu, ktoré riadia pohyb a rovnováhu.

## **Aké prínosy lieku Aqneursa boli preukázané v štúdiách?**

V hlavnej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 60 dospelých a detí vo veku od 6 rokov s telesnou hmotnosťou aspoň 20 kg, viedla liečba liekom Aqneursa v porovnaní s placebom (zdanlivým liekom) k zlepšeniu ich pohybu, koordinácie a schopnosti vykonávať každodenné úlohy.

V štúdii sa pacientom podával buď liek Aqneursa alebo placebo počas prvých 12 týždňov; 51 zo 60 účastníkov dostávalo aj liečbu miglustatom. Po tomto období sa skupiny zmenili. Pacientom liečeným liekom Aqneursa sa podávalo placebo a pacientom, ktorí užívali placebo, sa počas ďalších 12 týždňov podával liek Aqneursa. Hlavným meradlom účinnosti bola zmena na stupnici na posúdenie a hodnotenie ataxie (SARA). Skóre SARA meria, do akej miery je pohyb, koordinácia a schopnosť osoby vykonávať každodenné úlohy ovplyvnené ataxiou (ochorením, ktoré spôsobuje stratu koordinácie svalov). Stupnica sa pohybuje od 0 (bez ataxie) do 40 (závažná ataxia), pričom zníženie skóre osoby znamená, že jej symptómy sa zlepšujú.

Liečba liekom Aqneursa celkovo viedla k priemernému zníženiu skóre SARA o približne 2 body v porovnaní so znížením o 0,6 bodu pri použití placeba. Okrem toho u pacientov, ktorým sa podával liek Aqneursa a ktorí následne prešli na placebo, došlo po ukončení liečby týmto liekom k zhoršeniu ich skóre SARA.

## **Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Aqneursa?**

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Aqneursa a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Najčastejší vedľajší účinok lieku Aqneursa (ktorý môže postihnúť až 1 osobu z 10) je flatulencia (plynatosť).

## **Prečo bol liek Aqneursa povolený v EÚ?**

NPC je zriedkavé, život ohrožujúce ochorenie s obmedzenými možnosťami liečby. V čase schválenia lieku Aqneursa jediným liekom povoleným na liečbu neurologických príznakov NPC bol miglustat.

Napriek určitým nejasnostiam v hlavnej štúdii, ako je napríklad relatívne krátke trvanie liečby liekom určeným na dlhodobé používanie, liek Aqneursa viedol k zlepšeniu neurologických prejavov NPC vrátane tých, ktoré ovplyvňujú pohyb a koordináciu. U pacientov, ktorí liečbu zastavili, sa okrem toho významne zhoršili ich príznaky. V čase schválenia bola jediným vedľajším účinkom spojeným s liekom Aqneursa flatulencia.

Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Aqneursa sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

## **Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Aqneursa?**

Na bezpečné a účinné používanie lieku Aqneursa boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Aqneursa sa neustále kontrolujú. Podozrenia na vedľajšie účinky hlásené pri lieku Aqneursa sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

## **Ďalšie informácie o lieku Aqneursa**

Lieku Aqneursa bolo udelené povolenie na uvedenie na trh platné v celej EÚ

Ďalšie informácie o lieku Aqneursa sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aqneursa](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aqneursa).