



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Aqneursa (*levacetillevcin*)

Pregled zdravila Aqneursa in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Aqneursa in za kaj se uporablja?

Aqneursa je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje nevroloških simptomov (simptomov, ki prizadenejo možgane in živce) Niemann-Pickove bolezni tipa C (NPC) pri odraslih in otrocih, starejših od šest let, ki tehtajo vsaj 20 kg.

NPC je dedna bolezen, ki vpliva na sposobnost telesa za transport maščob znotraj celic. Te maščobe se sčasoma kopičijo v celicah možganov in drugih delih živčnega sistema, zaradi česar prenehajo pravilno delovati in sčasoma odmrejo. To povzroča simptome, kot so težave z ravnotežjem, gibanjem in požiranjem, nejasen govor in tresenje, ki jih ni mogoče nadzorovati.

Zdravilo Aqneursa se uporablja v kombinaciji z miglustatom, drugim zdravilom za zdravljenje nevroloških simptomov NPC. Lahko se uporablja tudi kot samostojno zdravilo, če je zdravljenje z miglustatom povzročilo neželene učinke, zaradi katerih ni primeren za bolnika.

Ker je Niemann-Pickova bolezen tipa C redka bolezen, je bilo zdravilo Aqneursa 20. marca 2017 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije o zdravilih sirotah so na voljo na [spletni strani](#) agencije EMA.

Zdravilo Aqneursa vsebuje učinkovino levacetillevcin.

Kako se zdravilo Aqneursa uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Aqneursa je le na recept. Zdravilo je na voljo v obliki vrečic, ki vsebujejo zrnca za mešanje z vodo za pripravo suspenzije, ki se jemlje peroralno od dva do trikrat na dan. Suspenzija se lahko daje tudi po cevki za hranjenje.

Odmerek je odvisen od telesne mase bolnika. Za več informacij glede uporabe zdravila Aqneursa glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Aqneursa deluje?

NPC povzročijo spremembe (mutacije) v genih, ki dajejo navodila za tvorbo beljakovin, imenovanih NPC1 in NPC2. Ti beljakovini običajno sodelujeta pri transportu maščob od lizosomov (majhnih mešičkov v celicah, ki razgrajujejo velike molekule, kot so maščobe) do drugih delov celice. Pri ljudeh z

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



NPC, NPC1 ali NPC2 ne delujeta pravilno, zaradi česar pride do kopičenja maščobe v lizosomih, kar je škodljivo za celice.

Natančen način delovanja učinkovine v zdravilu Aqneursa, levacetillevcina, ni znan. Vendar študije na živalih kažejo, da lahko pomaga popraviti sposobnost celic za energijsko presnovo. To vključuje sposobnost celic, da proizvajajo adenozin-trifosfat, ki je glavni vir energije za celice v možganih, ki nadzorujejo gibanje in ravnotežje.

Kakšne koristi zdravila Aqneursa so se pokazale v študijah?

V glavni študiji, v katero je bilo vključenih 60 odraslih in otrok, starejših od šest let, ki so tehtali vsaj 20 kg, je zdravljenje z zdravilom Aqneursa izboljšalo njihovo gibanje, usklajenost gibov in sposobnost opravljanja vsakodnevnih opravil v primerjavi s placebom (zdravilom brez učinkovine).

V študiji so bolniki prvih 12 tednov prejeli zdravilo Aqneursa ali placebo, 51 od 60 udeležencev pa je prejelo tudi zdravljenje z miglustatom. Po tem obdobju sta skupini zamenjali zdravljenje, tako da so bolniki, zdravljeni z zdravilom Aqneursa, prejeli placebo, tisti, ki so prejeli placebo, pa so zdravilo Aqneursa prejeli nadaljnjih 12 tednov. Glavno merilo učinkovitosti je bila sprememba na lestvici za ocenjevanje in določanje stopnje ataksije (SARA). Z oceno SARA se meri, kako na gibanje, usklajenost gibov in sposobnost osebe za opravljanje vsakodnevnih opravil vpliva ataksija (bolezen, ki povzroči izgubo usklajenega delovanja mišic). Lestvica se giblje od 0 (brez ataksije) do 40 (huda ataksija); zmanjšanje ocene pomeni, da se simptomi izboljšujejo.

Na splošno je zdravljenje z zdravilom Aqneursa privedlo do povprečnega zmanjšanja rezultata SARA za približno 2 točki v primerjavi z zmanjšanjem za 0,6 točke pri jemanju placeba. Poleg tega se je pri bolnikih, ki so prejeli zdravilo Aqneursa in nato prešli na placebo, po prenehanju zdravljenja s tem zdravilom ocena SARA poslabšala.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Aqneursa?

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Aqneursa glejte navodilo za uporabo.

Najpogostejši neželeni učinek zdravila Aqneursa (ki se lahko pojavi pri največ 1 od 10 bolnikov) je flatulenca (vetrovi).

Zakaj je bilo zdravilo Aqneursa odobreno v EU?

NPC je redka, življenjsko nevarna bolezen z omejenimi možnostmi zdravljenja. V času odobritve zdravila Aqneursa je bilo edino zdravilo, odobreno za zdravljenje nevroloških simptomov NPC, miglustat.

Kljub nekaterim negotovostim v glavni študiji, kot je sorazmerno kratko trajanje zdravljenja z zdravilom, namenjenim dolgotrajni uporabi, je zdravilo Aqneursa privedlo do izboljšanja nevroloških simptomov NPC, vključno s tistimi, ki vplivajo na gibanje in usklajenost gibov. Poleg tega so se simptomi pri bolnikih, ki so prenehali z zdravljenjem, znatno poslabšali. V času odobritve zdravila je bil edini neželeni učinek, povezan z zdravilom Aqneursa, flatulenca.

Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Aqneursa večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Aqneursa?

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Aqneursa upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Aqneursa stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Aqneursa, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Aqneursa

Za zdravilo Aqneursa je bilo dne X izdano dovoljenje za promet, veljavno po vsej EU.

Nadaljnje informacije za zdravilo Aqneursa so na voljo na spletni strani agencije:

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