



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nezglyal (*leriglitzon*)

Povzetek informacij o zdravilu Nezglyal v preprostem jeziku in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Nezglyal in za kaj se uporablja?

Nezglyal je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje cerebralne adrenolevkodistrofije pri dečkih, starih od dveh do 12 let, ki imajo blage simptome ali nobenih simptomov, na podlagi nevrološke funkcionalne ocene 0 ali 1.

Uporablja se pri bolnikih, pri katerih se lezije v možganih med slikanjem z magnetno resonanco ne obarvajo zaradi kontrastnega sredstva gadolinija (so Gd-negativne), kar kaže, da je bolezen v zgodnjih fazah.

Cerebralna adrenolevkodistrofija je oblika dedne bolezni, imenovane adrenolevkodistrofija, pri kateri se maščobne snovi, znane kot zelo dolgoverižne maščobne kisline, kopičijo v tkivih po telesu, zlasti v možganih, hrbtenjači in nadledvičnih žlezah. Kopičenje teh snovi v možganih pri cerebralni adrenolevkodistrofiji povzroči vnetje in uničenje zaščitnega ovoja (mielina), ki varuje živčne celice in jim pomaga pri prenašanju signalov.

Cerebralna adrenolevkodistrofija je redka bolezen, zato je bilo zdravilo Nezglyal 18. novembra 2016 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za zdravljenje adrenolevkodistrofije. Nadaljnje informacije o določitvah zdravila sirote so na voljo na [spletni strani](#) agencije EMA.

Zdravilo Nezglyal vsebuje učinkovino leriglitzon.

Kako se zdravilo Nezglyal uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Nezglyal je le na recept, zdravljenje z njim pa mora uvesti in spremljati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem bolezni, pri katerih celice osrednjega živčnega sistema prenehajo delovati ali odmrejo.

Zdravilo je na voljo v obliki suspenzije, ki se jemlje peroralno enkrat na dan. Odmerek je odvisen od otrokove telesne višine in mase.

Pred začetkom zdravljenja z zdravilom Nezglyal in med njim bo zdravnik redno izvajal krvne preiskave, da bi preveril, kako dobro delujejo bolnikova jetra. Če preiskave pokažejo težave z delovanjem bolnikovih jeter, bo morda moral zdravljenje začasno prekiniti.

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



Za več informacij glede uporabe zdravila Nezglyal glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Nezglyal deluje?

Učinkovina v zdravilu Nezglyal, leriglitazon, deluje tako, da se veže na receptorje (prijemališča), imenovane „gama receptorji PPAR“, ki se nahajajo v različnih celicah, vključno z živčnimi, in jih aktivira. Gama receptorji PPAR sodelujejo pri uravnavanju delovanja mitohondrijev (struktur v celicah, ki proizvajajo energijo), načinu odzivanja celic na oksidativni stres (poškodbe, ki jih povzročajo strupene molekule, ki vsebujejo kisik, znane kot prosti radikali) in vnetju. Zato se pričakuje, da bo leriglitazon zaščitil živčne celice pred poškodbami z zmanjšanjem vnetja, izboljšanjem delovanja mitohondrijev in zaščito pred poškodbami zaradi prostih radikalov.

Kakšne koristi zdravila Nezglyal so se pokazale v študijah?

V glavno študijo je bilo vključenih 23 dečkov, starih od 2 do 12 let, s cerebralno adrenolevkodistrofijo, vključno s tistimi z Gd-pozitivnimi ali Gd-negativnimi možganskimi lezijami. Vsi bolniki so poleg standardne oskrbe in, če je bila primerna, presaditve krvotvornih matičnih celic (HSCT), kadar koli med študijo prejemali zdravilo Nezglyal. Presaditev krvotvornih matičnih celic je postopek, pri katerem bolnik prejme matične celice, ki mu pomagajo pri tvorbi zdravih krvnih celic v kostnem mozgu. Zdravila Nezglyal niso primerjali z nobenim drugim zdravilom. Po 96 tednih ali ob obisku pred presaditvijo krvotvornih matičnih celic bolezen ni več napredovala pri 35 % (7 od 20 bolnikov, za katere je bilo zbranih dovolj podatkov) v primerjavi s pričakovano 10-odstotno stopnjo zaustavitve bolezni, če bi bolezen napredovala naravno. Večina bolnikov (šest od sedmih), pri katerih je bila bolezen zaustavljena z zdravilom Nezglyal, je na začetku zdravljenja imela Gd-negativno možgansko lezijo.

Študije, izvedene z zdravilom Nezglyal, so podrobneje opisane v poročilu o oceni zdravila.

Kateri so neželeni učinki in omejitve pri uporabi zdravila Nezglyal?

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

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Nezglyal (ki se lahko pojavijo pri največ 1 od 10 otrok) so povečana telesna masa, edem očesne veke (otekanje zaradi zadrževanja tekočine), levkopenija (nizke ravni belih krvnih celic) in nevtropenija (nizke ravni nevtrofilcev, vrste belih krvnih celic, ki se borijo proti okužbam).

Zdravila Nezglyal ne smejo uporabljati osebe, ki so preobčutljive za (alergične na) zdravila, ki vsebujejo tiazolidindion in se uporabljajo za zdravljenje sladkorne bolezni tipa 2. Prav tako ga ne smejo uporabljati osebe, ki imajo ali so predhodno že imele srčno popuščanje.

Zakaj je bilo zdravilo Nezglyal odobreno v EU?

V času odobritve ni bilo na voljo odobrenih zdravil za zdravljenje bolnikov z Gd-negativno cerebralno adrenolevkodistrofijo, tj. zelo redko in hitro napredujočo boleznijo. Edina morebitna možnost zdravljenja progresivne (napredujoče) cerebralne adrenolevkodistrofije (običajno z Gd-pozitivnimi lezijami) je presaditev krvotvornih matičnih celic.

Zdravilo Nezglyal se je izkazalo za učinkovito pri zaustavitvi napredovanja bolezni pri otrocih s cerebralno adrenolevkodistrofijo z Gd-negativnimi lezijami, tj. zgodnjo fazo bolezni, pri kateri se pričakuje, da bo zdravljenje prineslo največjo dolgoročno korist. Z vidika varnosti se neželeni učinki štejejo za obvladljive.

Pri sprejemanju odločitve je Evropska agencija za zdravila upoštevala tudi prispevke organizacij bolnikov in organizacij zdravstvenih delavcev.

Zaključila je, da so koristi zdravila Nezglyal večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Zdravilo Nezglyal je pridobilo dovoljenje za promet v izjemnih okoliščinah. Razlog za to je, da obstaja velika neizpolnjena zdravstvena potreba po zdravljenju cerebralne adrenolevkodistrofije in da zaradi redkosti bolezni ni bilo mogoče pridobiti popolnih informacij o zdravilu Nezglyal. Podjetje mora predložiti dodatne podatke o zdravilu Nezglyal. Predložiti mora rezultate študije o varnosti zdravila Nezglyal in rezultate študije na podlagi podatkov iz registra o njegovi dolgoročni učinkovitosti. Prav tako mora vsako leto predložiti posodobljene informacije o vseh novih informacijah o varnosti in učinkovitosti zdravila. Agencija bo vsako leto ponovno pregledala vse nove podatke, ki bodo na voljo.

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

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Nezglyal 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 Nezglyal stalno spremljajo. Domnevni neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Nezglyal, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Nezglyal

Nadaljnje informacije o zdravilu Nezglyal, vključno z navodilom za uporabo in poročilom o oceni, so na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nezglyal.

Za informacije o razpoložljivosti tega zdravila v svoji državi se obrnite na [pristojni nacionalni organ](#).