



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Aqneursa (*levacetylleucin*)

Sammanfattning av Aqneursa och varför det är godkänt inom EU

Vad är Aqneursa och vad används det för?

Aqneursa är ett läkemedel som används för att behandla neurologiska symtom (symtom som påverkar hjärnan och nerverna) vid Niemann-Picks sjukdom typ C (NPC) hos vuxna och barn från 6 års ålder som väger minst 20 kg.

NPC är en ärftlig sjukdom som påverkar kroppens förmåga att transportera fett inuti cellerna. Med tiden ansamlas dessa fetter i hjärnans celler och i andra delar av nervsystemet, med följden att cellerna slutar fungera som de ska och att de så småningom dör. Detta leder till symtom såsom svårigheter med balans och samordning av rörelser, svårigheter att svälja och tala samt skakningar som inte kan kontrolleras.

Aqneursa används i kombination med miglustat, ett annat läkemedel för behandling av neurologiska symtom på NPC. Det kan också ges som enda läkemedel om behandling med miglustat har orsakat biverkningar som gör det olämpligt för patienten.

NPC är sällsynt och Aqneursa klassificerades som särlekemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 20 mars 2017. Mer information om klassificeringen som särlekemedel finns på EMA:s [webbplats](#).

Aqneursa innehåller den aktiva substansen levacetylleucin.

Hur används Aqneursa?

Aqneursa är receptbelagt. Läkemedlet finns som dospåsar innehållande granulat som blandas med vatten till en suspension, som ska tas genom munnen två till tre gånger om dagen. Suspensionen kan också ges genom en matningssond.

Dosen beror på patientens kroppsvikt. För mer information om hur du använder Aqneursa, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Aqneursa?

NPC orsakas av förändringar (mutationer) i gener som fungerar som mallar för tillverkningen av proteinerna NPC1 och NPC2. Dessa proteiner transporterar normalt fett från lysosomer (små blåsor i cellerna där stora molekyler såsom fetter bryts ned) till andra delar av cellen. Hos personer med NPC

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



fungerar inte NPC1 eller NPC2 som de ska, med följden att fett ansamlas i lysosomerna, vilket är skadligt för cellerna.

Exakt hur den aktiva substansen i Aqneursa, levacetylleucin, verkar är okänt. Studier på djur tyder dock på att den kan hjälpa till att korrigera cellernas förmåga att skapa energi. I detta ingår cellernas förmåga att bilda adenosintrifosfat, den huvudsakliga energikällan för de celler i hjärnan som kontrollerar rörelser och balans.

Vilka fördelar med Aqneursa har visats i studierna?

I en huvudstudie på 60 vuxna och barn från 6 års ålder som vägde minst 20 kg ledde behandling med Aqneursa till förbättringar kopplade till rörelseförmågan, koordinationen och förmågan att utföra vardagliga sysslor, jämfört med placebo (overksam behandling).

I studien fick patienterna antingen Aqneursa eller placebo under de första 12 veckorna. Dessutom behandlades 51 av de 60 deltagarna också med miglustat. Efter denna period fick grupperna byta behandling, så att de patienter som behandlats med Aqneursa fick placebo och de som tagit placebo fick Aqneursa i ytterligare 12 veckor. Huvudeffekt måttet var poängförändringen på skalan för bedömning och värdering av ataxi (SARA). SARA-poängen är ett mått på hur mycket en persons rörelseförmåga, koordination och förmåga att utföra vardagliga sysslor påverkas av ataxi (ett tillstånd som orsakar försämrade muskelkoordination). Skalan sträcker sig från 0 (ingen ataxi) till 40 (svår ataxi). En minskning av en persons poäng innebär att personens symtom förbättras.

Totalt sett ledde behandling med Aqneursa till en genomsnittlig minskning av SARA-poängen på omkring 2 poäng, jämfört med en minskning på 0,6 med placebo. Dessutom försämrades SARA-poängen hos de patienter som fått Aqneursa och därefter bytt till placebo efter att behandlingen med läkemedlet avbrutits.

Vilka är riskerna med Aqneursa?

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Aqneursa finns i bipacksedeln.

Den vanligaste biverkningen som orsakas av Aqneursa (kan förekomma hos upp till 1 av 10 användare) är flatulens (gasbildning).

Varför är Aqneursa godkänt i EU?

NPC är ett sällsynt, livshotande tillstånd med begränsade behandlingsalternativ. Vid tidpunkten för godkännandet av Aqneursa var miglustat det enda läkemedel som var godkänt för behandling av neurologiska symtom på NPC.

Trots viss osäkerhet i huvudstudien, såsom den relativt korta behandlingstiden för ett läkemedel som är avsett för långtidsbehandling, resulterade behandling med Aqneursa i förbättrade neurologiska symtom på NPC, inräknat symtom som påverkar rörelseförmågan och koordinationen. De som avbröt behandlingen fick dessutom en markant försämring av sina symtom. Vid tidpunkten för godkännandet var gasbildning den enda biverkningen som orsakades av Aqneursa.

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Aqneursa är större än riskerna och att Aqneursa kan godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Aqneursa?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Aqneursa har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Aqneursa kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Aqneursa utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Aqneursa

Den [datum] beviljades Aqneursa ett godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

Mer information om Aqneursa finns på EMA:s webbplats:

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