

COMUNICAT DE PRESĂ
Agencia Națională a Medicamentului și a Dispozitivelor Medicale din
România prezintă în cele ce urmează traducerea și adaptarea în limba
română a comunicatului de presă al Agenției Europene pentru Medicamente
(European Medicines Agency - EMA):
Un nou tratament pentru boala Niemann-Pick de tip C

15 Iulie 2025
EMA/CHMP//2025

Medicamentul Aqneursa îmbunătățește semnificativ semnele, simptomele și funcția neurologică

EMA a recomandat acordarea unei autorizații de punere pe piață în Uniunea Europeană (UE) pentru medicamentul Aqneursa (levacetil leucină), pentru tratamentul manifestărilor de tip neurologic ale bolii Niemann-Pick de tip C (NPC), la adulți și copii cu vârsta de șase ani și peste, cu o greutate de cel puțin 20 kg. Medicamentul Aqneursa trebuie utilizat în asociere cu miglustat sau ca monoterapie la pacienții care nu tolerează miglustatul.

NPC este o tulburare genetică rară, progresivă și letală, cauzată de mutații ale genelor care codifică proteinele lizozomale esențiale pentru transportul intracelular și metabolismul lipidelor din organism, inclusiv al colesterolului. În timp, celulele sistemului nervos central și organele corpului încetează să funcționeze. Evoluția bolii variază foarte mult în funcție de vârsta de debut, însă majoritatea pacienților cu NPC sunt copii, care decedază înainte de a împlini 20 de ani. Nu există terapii curative pentru NPC. Miglustatul este singurul medicament autorizat pentru tratarea NPC și s-a demonstrat că încetinește progresia generală a simptomelor de tip neurologic la pacienți.

Levacetil leucina este o formă modificată a aminoacidului leucină, care joacă un rol vital în sinteza proteinelor, creșterea masei musculare și regenerarea țesuturilor. Levacetil leucina vizează procesele care stau la baza disfuncției neurologice. Studiile non-clinice au demonstrat că levacetil leucina corectează metabolismul energetic și îmbunătățește producția de adenzin trifosfat, principala sursă de energie pentru țesuturile și celulele cerebeloase.

Recomandarea se bazează pe rezultatele unui studiu randomizat, dublu-orb, controlat cu placebo, crossover, cu durata de 2 perioade, efectuat la 60 de pacienți ale căror semne, simptome și funcție neurologică au fost măsurate utilizând Scala pentru Evaluarea și Stadializare a Ataxiei (SARA), incluzând mersul, poziția în picioare, poziția în șezut și vorbirea. Dintre acești 60 de pacienți, 51 primeau deja miglustat și au continuat să îl primească, pe parcursul studiului. Pacienții au fost randomizați într-un raport de 1:1, pentru a li se administra fie Aqneursa, fie un tratament de tip placebo, timp de 12 săptămâni, în Perioada I. În Perioada II, pacienții au fost trecuți pe tratamentul opus (fie Aqneursa, fie placebo) pentru încă 12 săptămâni.

La sfârșitul perioadei I, pacienții tratați cu medicamentul Aqneursa au demonstrat o îmbunătățire semnificativă statistic a scorului SARA, comparativ cu cei tratați cu placebo. La sfârșitul perioadei II, pacienții care au trecut de la Aqneursa la placebo au înregistrat o agravare semnificativă a simptomelor, comparativ cu scorul SARA, la sfârșitul perioadei I. Pacienții cărora nu li s-a administrat Miglustat și-au îmbunătățit scorul SARA, atunci când au fost tratați cu Aqneursa.

Singura reacție adversă care a fost legată cauzal de tratamentul cu medicamentul Aqneursa este flatulența.

Opinia adoptată de CHMP reprezintă o etapă intermediară privind accesul pacientului la Aqneursa. Opinia va fi trimisă Comisiei Europene, în vederea adoptării unei decizii privind acordarea unei autorizații de punere pe piață, la nivelul întregii UE. De îndată ce o autorizație de punere pe piață a fost acordată, deciziile referitoare la preț și rambursare vor avea loc la nivelul fiecărui stat membru, ținând cont de rolul sau utilizarea potențială a acestui medicament, în contextul sistemului național de sănătate din țara respectivă.

Note

1. Acest comunicat de presă, împreună cu toate documentele aferente, este disponibil pe website-ul Agenției: www.ema.europa.eu.
2. Solicitantul pentru medicamentul Aqneursa este Intrabio Ireland Ltd.
3. Pe 20 Martie 2017, medicamentul Aqneursa a fost desemnat medicament orfan, pentru tratamentul bolii Niemann-Pick. În urma acestei opinii pozitive a CHMP, [Comitetul pentru medicamente orfane](#) (COMP) va evalua dacă este necesară menținerea statutului de „orfan” al acestui medicament.