

COMUNICAT DE PRESĂ

Agenția Națională a Medicamentului și a Dispozitivelor Medicale din România prezintă în cele ce urmează traducerea în limba română a comunicatului de presă al Agenției Europene pentru Medicamente (European Medicines Agency - EMA):
Medicamentul Leqembi a fost recomandat pentru tratamentul bolii Alzheimer în stadiul precoce

14 Noiembrie 2024
EMA/521014/2024

Reexaminarea a concluzionat că beneficiile medicamentului Leqembi depășesc riscurile la un grup restricționat de pacienți

După reexaminarea opiniei sale inițiale, comitetul pentru medicamente de uz uman al EMA, CHMP, a recomandat acordarea unei autorizații de punere pe piață pentru medicamentul Leqembi (lecanemab), pentru tratamentul deficiențelor cognitive ușoare (tulburări de memorie și de gândire) și demenței ușoare, cauzate de boala Alzheimer (boală Alzheimer în stadiul precoce), la pacienții care prezintă o singură copie (sau niciuna) a *ApoE4*, o anumită variantă a genei pentru proteina numită apolipoproteină E.

Pacienții care prezintă o singură copie (sau niciuna) a genei *ApoE4* au mai puține șanse de a prezenta anomalii imagistice legate de amiloid (ARIA - amyloid-related imaging abnormalities) decât cei care prezintă 2 copii ale *ApoE4*. ARIA este o reacție adversă recunoscută a medicamentului Leqembi, care implică tumefiere și potențială sângerare la nivelul creierului.

CHMP a concluzionat că, în cazul populației restrânse, evaluate în cadrul reexaminării, beneficiile medicamentului Leqembi în încetinirea progresiei simptomelor bolii depășesc riscurile. În Iulie 2024, Comitetul a emis o [opinie negativă cu privire la utilizarea Leqembi](#) la o populație mai largă, care constă în toți pacienții cu boala Alzheimer în stadiul precoce.

Datele arată un risc mai scăzut de apariție a ARIA la unii pacienți

ARIA se manifestă în două moduri: ARIA-E (edem), care implică acumularea de lichid în creier, iar ARIA-H, care implică mici sângerări la nivelul creierului. Aceasta poate apărea în mod natural la toți pacienții cu boala Alzheimer, fiind însă exacerbată prin administrarea de medicamente precum Leqembi, adică anticorpi care

vizează o substanță numită beta-amiloid. În reexaminarea solicitată de companie, CHMP a luat în considerare analizele de subgrup care excludeau datele provenite de la pacienții care aveau 2 copii ale genei ApoE4 și care, prin urmare, prezentau cel mai mare risc de apariție a ARIA.

Rezultatele acestor analize au arătat că în rândul pacienților tratați cu Leqembi, 8,9% dintre cei cu o singură copie sau nicio copie a genei ApoE4 au prezentat ARIA-E, comparativ cu 12,6% dintre toți pacienții; în mod similar, 12,9% dintre pacienții din populația restrânsă au prezentat ARIA-H, comparativ cu 16,9% dintre cei din populația mai extinsă.

În cadrul populației restrânse, la pacienții la care s-a administrat placebo, rezultatele au fost de 1,3% pentru ARIA-E și de 6,8% pentru ARIA-H.

Date privind beneficiile la populația restrânsă

În ceea ce privește eficacitatea, beneficiile medicamentului Leqembi la populația restrânsă sunt în concordanță cu cele observate la populația mai largă. Pentru reexaminare, compania a furnizat o analiză de subgrup a datelor provenite din studiul principal, care a inclus 1521 de pacienți care prezintă o singură copie (sau niciuna) a genei numite apolipoproteină E4 (ApoE4), din totalul de 1795 de pacienți. Principala măsură a eficacității a fost o modificare a simptomelor cognitive și funcționale, după 18 luni, măsurată cu o scală de evaluare a demenței cunoscută sub numele de CDR-SB. Scala variază de la 0 la 18, scorurile mai mari indicând o afectare mai mare.

După 18 luni de tratament, scorul CDR-SB înregistrat la pacienții tratați cu Leqembi a crescut cu 1,22 puncte, comparativ cu 1,75 la cei cărora li s-a administrat placebo, indicând un declin cognitiv mai lent. Rezultatele altor măsuri-cheie au fost similare cu cele observate cu scala CDR-SB.

Măsuri de siguranță suplimentare

CHMP a concluzionat că beneficiile medicamentului Leqembi depășesc riscurile la pacienții cu afectare cognitivă ușoară sau cu demență ușoară, cauzate de boala Alzheimer, care prezintă o singură copie (sau niciuna) a genei ApoE4, cu condiția implementării unor măsuri de minimizare a riscului de apariție a ARIA severă și simptomatică și pentru a monitoriza consecințele ARIA pe termen lung.

Medicamentul Leqembi va fi disponibil printr-un program de acces controlat, pentru a se asigura faptul că medicamentul va fi utilizat numai de către populația de pacienți indicată.

Pacienților le vor fi necesare scanări RMN, pentru a li se monitoriza ARIA înainte de inițierea tratamentului și înainte de utilizarea celei de-a 5-a, a 7-a și a 14-a doză de Leqembi. Scanări RMN suplimentare pot fi necesare în orice moment în timpul tratamentului, dacă pacienții prezintă simptome de ARIA (precum dureri de cap, confuzie, modificări vizuale, amețeli, greață și dificultăți de mers).

Pentru a crește gradul de conștientizare a riscului de apariție a ARIA și pentru a asigura detectarea și tratamentul precoce al acesteia, compania va oferi un ghid și o listă de verificare pentru profesioniștii din domeniul sănătății, un card de alertă pentru pacienți și programe de formare privind ARIA pentru profesioniștii din domeniul sănătății. În plus, aceasta trebuie să efectueze un studiu de siguranță post-autorizare, pentru a putea caracteriza, în continuare, ARIA-E și ARIA-H și pentru a evalua eficacitatea măsurilor de minimizare a riscurilor. Compania va înființa un registru la nivel UE cu pacienți tratați cu medicamentul Leqembi, care poate fi utilizat pentru a estima incidența reacțiilor adverse, inclusiv a ARIA, și pentru a determina gradul de severitate al acestora. Registrul poate fi folosit și pentru colectarea informațiilor referitoare la progresia pacienților către următoarele stadii ale bolii Alzheimer și posibilele consecințe pe termen lung ale ARIA.

Ca și în cazul altor evaluări, în timpul reexaminării, CHMP a luat în considerare și informațiile provenite de la pacienți, persoane care au grijă de pacienți, clinicieni și organizații profesionale, care și-au împărtășit perspectivele cu privire la nevoile neacoperite ale pacienților cu boală Alzheimer și datele privind declinul cognitiv și riscurile asociate.

Avizul CHMP reprezintă un pas intermediar pe calea către accesul pacienților la medicamentul Leqembi. Avizul va fi trimis Comisiei Europene pentru adoptarea unei decizii privind o autorizație de punere pe piață la nivel UE. Odată acordată autorizația de punere pe piață, deciziile privind prețul și rambursarea vor avea loc la nivelul fiecărui stat membru, luând în considerare rolul potențial și utilizarea acestui medicament în contextul sistemului său național de sănătate.

Mai multe informații despre medicamentul Leqembi și boala Alzheimer

Boala Alzheimer este o tulburare ireversibilă și progresivă a creierului care afectează memoria, gândirea și comportamentul.

Leqembi conține substanța activă lecanemab și trebuie administrat sub formă de perfuzie (picurare) într-o venă, o dată la interval de două săptămâni. Substanța activă a acestuia, lecanemab, este un anticorp monoclonal (un tip de proteină) care se leagă de o substanță numită beta-amiloid, care formează plăci la nivelul creierului pacienților cu boala Alzheimer. Prin atașarea la beta-amiloid, medicamentul reduce formarea plăcilor de amiloid de la nivelul creierului.

Cele mai frecvente reacții adverse ale medicamentului Leqembi includ reacții legate de perfuzie, ARIA-H, ARIA-E și dureri de cap. Leqembi nu trebuie utilizat de către persoanele care primesc tratament anticoagulant, deoarece acest lucru ar putea crește riscul de a dezvolta ARIA-H și sângerări la nivelul creierului.