



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/429680/2021
EMA/H/C/005501

Nexviadyme (*avalglucosidase alfa*)

Общ преглед на Nexviadyme и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Nexviadyme и за какво се използва?

Nexviadyme е ензимозаместваща терапия, която се използва за лечение на пациенти с болест на Pompe, рядко наследствено нарушение, причинено от липсата на ензим, наречен алфа-глюкозидаза. Пациентите с болестта на Pompe имат натрупване на гликоген (сложни захари) в тъканите на тялото, включително сърцето, белите дробове и скелетните мускули, което причинява уголемяване на сърцето, затруднения в дишането и мускулна слабост.

Nexviadyme съдържа активното вещество авалглюкозидаза алфа (*avalglucosidase alfa*).

Болестта на Pompe се счита за рядко заболяване и Nexviadyme е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 26 март 2014 г. Допълнителна информация за лекарствата сираци можете да намерите тук:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141251.

Как се използва Nexviadyme?

Лечението с Nexviadyme трябва да се наблюдава от лекар с опит в лечението на пациенти с болестта на Pompe или други наследствени заболявания от същия вид.

Nexviadyme се прилага под формата на инфузия (вливане) във вена веднъж на всеки две седмици, а дозата зависи от телесното тегло на пациента. Лекарят може да реши да увеличи дозата за пациенти с инфантилна форма на болестта на Pompe (болест на Pompe, която се появява в ранна възраст), които не се повлияват от обичайната доза. Пациентите, при които първите няколко инфузии нямат сериозни нежелани реакции, може да ги прилагат у дома.

За повече информация относно употребата на Nexviadyme вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

Как действа Nexviadyme?

Активното вещество в Nexviadyme, авалглюкозидаза алфа, е вид на ензима алфа-глюкозидаза, който липсва при хора с болестта на Pompe. Алфа-глюкозидазата разгражда гликогена до глюкоза, която може да се използва за енергия от клетките на организма. Ако ензимът отсъства, гликогенът се натрупва в определени тъкани, включително сърцето и диафрагмата (основният

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



дихателен мускул под белите дробове), което причинява увреждане на тези тъкани. Като замества липсващия ензим, авалглюкозидаза алфа помага за разграждането на гликогена и спира натрупването му, причинявайки симптомите на заболяването.

Какви ползи от Nexviadyme са установени в проучванията?

В едно основно проучване при 100 пациенти на възраст между 16 и 78 години с болестта на Pompe е показано, че Nexviadyme е поне толкова ефективен за подобряване на белодробната функция, колкото друга заместваща терапия за болестта на Pompe (алглюкозидаза алфа). Белодробната функция на пациентите е измерена като процентна промяна в форсирания им витален капацитет (ФВК, максималното количество издишван въздух при едно вдишване).

В проучването пациентите, приемащи Nexviadyme в продължение на 49 седмици, увеличават белодробната си функция с 2,9 % в сравнение с пациентите, приемащи алглюкозидаза алфа, които увеличават белодробната си функция с 0,5 %.

Какви са рисковете, свързани с Nexviadyme?

Най-честите нежелани реакции при Nexviadyme са реакции на свръхчувствителност (алергични реакции) и реакции, свързани с инфузията, които може да засегнат повече от 1 на 4 души; тежки алергични реакции (анафилаксия) са съобщени при по-малко от 2 на 100 души. Други често съобщавани нежелани реакции (при не повече от 1 на 10 души) са сърбеж, обрив, главоболие, уртикария (сърбящ обрив), умора, гадене (позиви за повръщане) и втрисане.

За пълния списък на нежеланите реакции, съобщени при Nexviadyme, вижте листовката.

Защо Nexviadyme е разрешен за употреба в ЕС?

В едно основно проучване е установено, че Nexviadyme подобрява белодробната функция при пациенти с болестта на Pompe. Най-честите нежелани реакции са алергични реакции и реакции към инфузията и са сравними със съобщаваните при пациенти, лекувани с подобни лекарства.

Поради това Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Nexviadyme са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Nexviadyme?

Фирмата, която предлага Nexviadyme, ще предостави обучителни материали за медицинските специалисти, включително указания как да се наблюдават пациентите за риск от инфекция и как да се организират инфузии вкъщи.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Nexviadyme, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени също в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Nexviadyme непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Nexviadyme внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Nexviadyme:

Допълнителна информация за Nexviadyme можете да намерите на уебсайта на Агенцията:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nexviadyme.

Дата на последно актуализиране на текста 05-2022.