



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nexviadyme (*avalglucosidasum alfa*)

Přehled pro přípravek Nexviadyme a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Nexviadyme a k čemu se používá?

Přípravek Nexviadyme se používá k enzymatické substituční léčbě pacientů s Pompeho nemocí, což je vzácné dědičné onemocnění způsobené nedostatkem enzymu zvaného alfa-glukosidáza. U pacientů s Pompeho nemocí dochází k hromadění glykogenu (polysacharidu) v tělesných tkáních, a to i v srdci, plicích a kosterních svalech, což způsobuje zvětšení srdce, potíže s dýcháním a svalovou slabost.

Přípravek Nexviadyme obsahuje léčivou látku avalglukosidáza alfa.

Pompeho nemoc je vzácné onemocnění a přípravek Nexviadyme byl označen dne 26. března 2014 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete zde: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141251.

Jak se přípravek Nexviadyme používá?

Léčbu přípravkem Nexviadyme má provádět lékař se zkušenostmi s léčbou pacientů s Pompeho nemocí nebo jiných dědičných onemocnění stejného typu.

Přípravek Nexviadyme se podává každé dva týdny ve formě infuze (kapání) do žíly, přičemž dávka závisí na tělesné hmotnosti pacienta. U pacientů s infantilní formou Pompeho nemoci (Pompeho nemocí, která se objevuje v raném věku), u nichž nedochází ke zlepšení při obvyklé dávce, může lékař rozhodnout o jejím zvýšení. Pacientům, u kterých se nevyskytnou žádné závažnější nežádoucí účinky při podání prvních několika infuzí, je možné infuze podávat doma.

Více informací o používání přípravku Nexviadyme naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Jak přípravek Nexviadyme působí?

Léčivá látka v přípravku Nexviadyme, avalglukosidáza alfa, je verze enzymu alfa-glukosidáza, které mají osoby s Pompeho nemocí nedostatek. Alfa-glukosidáza rozkládá glykogen na glukózu, kterou buňky lidského těla mohou využívat k získávání energie. Pokud tento enzym v těle není přítomen, glykogen se hromadí v určitých tkáních, a to i v srdci a bránici (hlavním svalu dýchacího ústrojí pod plícemi), což vede k jejich poškození. Nahrazením chybějícího enzymu pomáhá avalglukosidáza alfa rozkládat glykogen a zabraňuje jeho hromadění a vyvolávání příznaků onemocnění.

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



Jaké přínosy přípravku Nexviadyme byly prokázány v průběhu studií?

Jedna hlavní studie, do které bylo zařazeno 100 pacientů ve věku od 16 do 78 let s Pompeho nemocí, prokázala, že přípravek Nexviadyme byl při zlepšování funkce plic přinejmenším stejně účinný jako jiná substituční léčba Pompeho nemoci (alglukosidáza alfa). Funkce plic pacientů byla měřena jako procentuální změna jejich usilovné vitální kapacity plic (FVC, což je maximální množství vzduchu usilovně vydechnutého v jednom výdechu).

V této studii se u pacientů užívajících přípravek Nexviadyme po dobu 49 týdnů zlepšila funkce plic o 2,9 % ve srovnání s pacienty užívajícími alglukosidázu alfa, u nichž se funkce plic zlepšila o 0,5 %.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Nexviadyme?

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Nexviadyme jsou hypersenzitivní (alergické) reakce a reakce související s podáním infuze, které mohou postihnout více než 1 osobu ze 4. Těžké alergické reakce (anafylaxe) byly hlášeny u méně než 2 osob ze 100. Dalšími často hlášenými nežádoucími účinky (u až 1 osoby z 10) jsou svědění, vyrážka, bolest hlavy, kopřivka (svědivá vyrážka), únava, nauzea (pocit na zvracení) a zimnice.

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Nexviadyme je uveden v příbalové informaci.

Na základě čeho byl přípravek Nexviadyme registrován v EU?

Hlavní studie prokázala, že přípravek Nexviadyme u pacientů s Pompeho nemocí zlepšuje funkci plic. Nejčastějšími nežádoucími účinky jsou alergické reakce a reakce související s podáním infuze a jsou srovnatelné s nežádoucími účinky hlášenými u pacientů léčených podobnými léčivými přípravky.

Evropská agentura pro léčivé přípravky proto rozhodla, že přínosy přípravku Nexviadyme převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Nexviadyme?

Společnost, která přípravek Nexviadyme dodává na trh, poskytne zdravotnickým pracovníkům edukační materiály včetně pokynů, jak u pacientů sledovat riziko infekce a jak organizovat podávání infuzí doma.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla rovněž zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Nexviadyme, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Nexviadyme průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Nexviadyme jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Nexviadyme

Další informace o přípravku Nexviadyme jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nexviadyme.

Tento přehled byl naposledy aktualizován v 05-2022.