



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nexviadyme (*avalglucosidase alfa*)

En oversigt over Nexviadyme, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Nexviadyme, og hvad anvendes det til?

Nexviadyme er en enzymsubstitutionsbehandling, der anvendes til behandling af patienter med Pompes sygdom, en sjælden arvelig sygdom, der skyldes mangel på enzymet alfa-glucosidase. Patienter med Pompes sygdom har en ophobning af glykogen (komplekse sukkerarter) i kropsvævene, herunder hjerte-, lunge- og skeletmuskler, hvilket medfører forstørret hjerte, åndedrætsbesvær og muskelsvækkelse.

Nexviadyme indeholder det aktive stof avalglucosidase alfa.

Pompes sygdom er sjælden, og Nexviadyme blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 26. marts 2014. Yderligere information om lægemidler til sjældne sygdomme kan findes her: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141251.

Hvordan anvendes Nexviadyme?

Behandlingen med Nexviadyme bør overvåges af en læge, der har erfaring med behandling af patienter med Pompes sygdom eller andre arvelige sygdomme af samme type.

Nexviadyme gives som en infusion (drop) i en vene én gang hver anden uge. Dosis afhænger af patientens legemsvægt. Lægen kan beslutte at øge dosis til patienter med Pompes sygdom, som starter i spædbørnsalderen (Pompes sygdom, der viser sig tidligt), hvis sygdommen ikke forbedres med den sædvanlige dosis. Patienter, som ikke får større bivirkninger ved de første infusioner, kan få infusionerne hjemme.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Nexviadyme, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Nexviadyme?

Det aktive stof i Nexviadyme, avalglucosidase alfa, er en version af enzymet alfa-glucosidase, som personer med Pompes sygdom mangler. Alfa-glucosidase nedbryder glykogen til sukker, som kroppens celler kan anvende som energi. Hvis enzymet mangler, ophobes der glykogen i visse væv, herunder hjertet og mellemgulvet (den vigtigste vejtrækningsmuskulatur under lungerne), og så bliver de



beskadiget. Ved at erstatte det manglende enzym hjælper avalglucosidase alfa med at nedbryde glycogen og forhindre det i at hobe sig op og give symptomer på sygdommen.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Nexviadyme?

Et hovedstudie med 100 patienter i alderen 16-78 år med Pompes sygdom viste, at Nexviadyme var mindst lige så effektivt som en anden substitutionsbehandling til at forbedre lungefunktionen ved Pompes sygdom (alglucosidase alfa). Patienternes lungefunktion blev målt på den procentvise ændring i deres forcerede vitalkapacitet (FVC, den maksimale mængde luft, der udåndes med stor kraft i et åndedrag).

I studiet øgede de patienter, der fik Nexviadyme i 49 uger, deres lungefunktion med 2,9 % sammenlignet med de patienter, der fik alglucosidase alfa, som øgede deres lungefunktion med 0,5 %.

Hvilke risici er der forbundet med Nexviadyme?

De hyppigste bivirkninger ved Nexviadyme er overfølsomhedsreaktioner (allergiske reaktioner) og infusionsrelaterede reaktioner, som kan forekomme hos mere end 1 ud af 4 personer. Der er indberettet om svære allergiske reaktioner (anafylaksi) hos mindre end 2 ud af 100 personer. Andre hyppigt indberettede bivirkninger (hos op til 1 ud af 10 personer) er kløe, udslæt, hovedpine, urticaria (kløende udslæt), træthed, kvalme og kulderystelser.

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Nexviadyme fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor er Nexviadyme godkendt i EU?

Et hovedstudie viste, at Nexviadyme forbedrede lungefunktionen hos patienter med Pompes sygdom. De hyppigste bivirkninger er allergiske reaktioner og infusionsreaktioner, som kan sammenlignes med dem, der er indberettet hos patienter, der behandles med tilsvarende lægemidler.

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Nexviadyme opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Nexviadyme?

Den virksomhed, der markedsfører Nexviadyme, vil udarbejde informationsmateriale til sundhedspersoner, herunder vejledning i, hvordan patienter overvåges for infektionsrisiko, og hvordan infusioner tilrettelægges og udføres i hjemmet.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Nexviadyme.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende brugen af Nexviadyme løbende overvåget. Formodede bivirkninger ved Nexviadyme vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Andre oplysninger om Nexviadyme

Yderligere information om Nexviadyme findes på agenturets websted under:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nexviadyme.

Denne oversigt blev sidst ajourført i 05-2022.