



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nexviadyme (αβαλγλυκοσιδάση άλφα)

Ανασκόπηση του Nexviadyme και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Nexviadyme και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Nexviadyme είναι θεραπεία ενζυμικής υποκατάστασης η οποία χορηγείται για την αντιμετώπιση ασθενών με νόσο Pompe, μια σπάνια κληρονομική διαταραχή που προκαλείται από την έλλειψη ενός ενζύμου που ονομάζεται α-γλυκοσιδάση. Οι ασθενείς με νόσο του Pompe παρουσιάζουν συσσώρευση γλυκογόνου (σύνθετα σάκχαρα) στους ιστούς του σώματος, μεταξύ άλλων του καρδιακού μυός και των πνευμονικών και σκελετικών μυών, με αποτέλεσμα τη διόγκωση της καρδιάς, αναπνευστική δυσχέρεια και μυϊκή αδυναμία.

Το Nexviadyme περιέχει τη δραστική ουσία αβαλγλυκοσιδάση άλφα.

Η νόσος του Pompe είναι «σπάνια» και το Nexviadyme χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες παθήσεις) στις 26 Μαρτίου 2014. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε εδώ: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141251.

Πώς χρησιμοποιείται το Nexviadyme;

Η θεραπεία με Nexviadyme πρέπει να χορηγείται υπό την επίβλεψη γιατρού με εμπειρία στη διαχείριση ασθενών που πάσχουν από τη νόσο του Pompe ή άλλες κληρονομικές νόσους του ίδιου τύπου.

Το Nexviadyme χορηγείται με ενδοφλέβια έγχυση (στάγδην χορήγηση) μία φορά κάθε δύο εβδομάδες και η δόση εξαρτάται από το σωματικό βάρος του ασθενούς. Ο γιατρός ενδέχεται να αποφασίσει να αυξήσει τη δόση σε ασθενείς με νόσο του Pompe βρεφικής έναρξης (νόσος του Pompe που εμφανίζεται σε νεαρή ηλικία) οι οποίοι δεν παρουσιάζουν βελτίωση με τη συνήθη δόση. Στους ασθενείς που δεν παρατηρούνται σοβαρές ανεπιθύμητες ενέργειες κατά τη διάρκεια των πρώτων εγχύσεων μπορεί να χορηγούνται οι εγχύσεις κατ' οίκον.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Nexviadyme, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Πώς δρα το Nexviadyme;

Η δραστική ουσία του Nexviadyme, η αβαλγλυκοσιδάση άλφα, είναι μια μορφή του ενζύμου α-γλυκοσιδάση, το οποίο δεν υπάρχει στα άτομα που πάσχουν από τη νόσο του Pompe. Η α-γλυκοσιδάση



διασπά το γλυκογόνο σε γλυκόζη που μπορεί να χρησιμοποιηθεί για την παραγωγή ενέργειας από τα κύτταρα του οργανισμού. Εάν το ένζυμο απουσιάζει, το γλυκογόνο συσσωρεύεται σε ορισμένους ιστούς, συμπεριλαμβανομένης της καρδιάς και του διαφράγματος (του κύριου αναπνευστικού μυός κάτω από τους πνεύμονες), προκαλώντας βλάβη σε αυτούς. Αντικαθιστώντας το ένζυμο που απουσιάζει, η αβαλγλυκοσιδάση άλφα βοηθά στη διάσπαση του γλυκογόνου και διακόπτει τη συσσώρευσή του, η οποία προκαλεί τα συμπτώματα της πάθησης.

Ποια είναι τα οφέλη του Nexviadyme σύμφωνα με τις μελέτες;

Σε μία βασική μελέτη στην οποία μετείχαν 100 ασθενείς ηλικίας 16 έως 78 ετών με τη νόσο του Pompe καταδείχθηκε ότι το Nexviadyme ήταν τουλάχιστον εξίσου αποτελεσματικό στη βελτίωση της πνευμονικής λειτουργίας με άλλη θεραπεία υποκατάστασης για τη νόσο του Pompe (αλγλυκοσιδάση άλφα). Η πνευμονική λειτουργία των ασθενών μετρήθηκε βάσει της ποσοστιαίας μεταβολής της εκπνεόμενης ζωτικής χωρητικότητας των ασθενών (FVC, η μέγιστη ποσότητα αέρα που εκπνέει βίαια ο ασθενής σε μία αναπνοή).

Στη μελέτη, στους ασθενείς που έλαβαν Nexviadyme για 49 εβδομάδες αυξήθηκε η πνευμονική τους λειτουργία κατά 2,9% σε σύγκριση με τους ασθενείς που έλαβαν αλγλυκοσιδάση άλφα, στους οποίους η πνευμονική λειτουργία αυξήθηκε κατά 0,5%.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Nexviadyme;

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Nexviadyme είναι αντιδράσεις υπερευαισθησίας (αλλεργικές) και αντιδράσεις που σχετίζονται με την έγχυση, οι οποίες ενδέχεται να εμφανιστούν σε περισσότερους από 1 στους 4 ασθενείς· σοβαρές αλλεργικές αντιδράσεις (αναφυλαξία) έχουν αναφερθεί σε λιγότερους από 2 στους 100 ασθενείς. Άλλες ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται συχνά (σε έως και 1 στους 10 ασθενείς) είναι κνησμός, εξάνθημα, πονοκέφαλος, κνίδωση (δερματικό εξάνθημα που συνοδεύεται από κνησμό), κόπωση, ναυτία (αίσθημα αδιαθεσίας) και ρίγη.

Για τον πλήρη κατάλογο των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών που έχουν αναφερθεί με το Nexviadyme, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Nexviadyme στην ΕΕ;

Μια κύρια μελέτη κατέδειξε ότι το Nexviadyme βελτίωσε την πνευμονική λειτουργία των ασθενών με νόσο του Pompe. Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες είναι αλλεργικές αντιδράσεις και αντιδράσεις σχετιζόμενες με την έγχυση, οι οποίες είναι συγκρίσιμες με εκείνες που αναφέρθηκαν από ασθενείς που έλαβαν παρόμοια φάρμακα.

Ως εκ τούτου, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι τα οφέλη του Nexviadyme υπερτερούν των διαπιστωθέντων κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση της χρήσης του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Nexviadyme;

Η εταιρεία που εμπορεύεται το Nexviadyme θα παράσχει εκπαιδευτικό υλικό για τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας, το οποίο θα περιλαμβάνει καθοδήγηση σχετικά με την παρακολούθηση των ασθενών για κίνδυνο λοίμωξης και τον τρόπο οργάνωσης των εγχύσεων στο σπίτι.

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν επίσης συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους

επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Nexviadyme.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Nexviadyme τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Nexviadyme αξιολογούνται προσεκτικά και λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Nexviadyme

Περισσότερες πληροφορίες για το Nexviadyme διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nexviadyme.

Τελευταία ενημέρωση της ανασκόπησης: 05-2022.