



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/329151/2022  
EMA/H/C/004850

## Xenpozyme (*olipudaza alfa*)

Pregled informacija o lijeku Xenpozyme i zašto je odobren u EU-u

### Što je Xenpozyme i za što se koristi?

Xenpozyme je lijek za liječenje bolesnika s nedostatkom kisele sfingomijelinaze (engl. *acid sphingomyelinase deficiency* – ASMD), genetskim stanjem koje je nekad bilo poznato kao Niemann-Pickova bolest tipa A, A/B i B. Postoje tri vrste Niemann-Pickove bolesti (A, B i C) s različitim genetskim uzrocima i različitim simptomima. Xenpozyme se koristi za liječenje bolesnika s tipom A/B ili tipom B. Namijenjen je za liječenje simptoma ASMD-a koji nisu povezani s mozgom.

Niemann-Pickova bolest je rijetka bolest, a lijek Xenpozyme dobio je status „lijeka za rijetku bolest”

5. prosinca 2016. Više informacija o statusu lijeka za rijetku bolest možete naći ovdje:

[ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-01-056](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-01-056).

Xenpozyme sadrži djelatnu tvar olipudaza alfa.

### Kako se Xenpozyme primjenjuje?

Xenpozyme se izdaje samo na recept, a liječenje mora nadzirati zdravstveni radnik s iskustvom u liječenju ASMD-a ili drugih nasljednih metaboličkih poremećaja. Lijek Xenpozyme treba primjenjivati zdravstveni radnik koji ima pristup odgovarajućoj medicinskoj pomoći radi liječenja mogućih teških reakcija, kao što su reakcije preosjetljivosti (alergijske reakcije) koje zahvaćaju cijelo tijelo (vidjeti odjeljak o rizicima u nastavku).

Xenpozyme se primjenjuje infuzijom (ukapavanjem) u venu svaka dva tjedna. Preporučena doza ovisi o tjelesnoj težini bolesnika. Liječenje započinje malom dozom koja se postupno povećava dok se ne dosegne preporučena doza, obično nakon 14 do 16 tjedana. Ovisno o dozi, trajanje infuzije varira između 18 i 220 minuta (gotovo 3,7 sati).

Za više informacija o primjeni lijeka Xenpozyme pročitajte uputu o lijeku odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

### Kako djeluje Xenpozyme?

Zbog genetske mutacije bolesnicima s ASMD-om tipa A, A/B i B nedostaje funkcionalni enzim, kiselu sfingomijelinazu, koja se nalazi u lizosomima (dijelovima stanica tijela koji razgrađuju hranjive tvari i druge materijale) i potrebna je za razgradnju određenih masti. Nakupljanje masti koje iz toga proizlazi

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



mijenja način na koji stanice funkcioniraju i uzrokuje njihovo odumiranje te utječe na normalno funkcioniranje tkiva i organa, uključujući jetru, slezenu, pluća, srce i mozak.

Djelatna tvar lijeka Xenpozyme, olipudaza alfa, kopija je uobičajenog enzima kisele sfingomijelinaze. Očekuje se da će zamijeniti bolesnikov neispravni enzim te time smanjiti nakupljanje masti u lizosomima i ublažiti neke od simptoma bolesti. Međutim, ne očekuje se da će se time ublažiti simptomi koji utječu na mozak jer lijek ne može prijeći krvno-moždanu barijeru koja odvaja krv od moždanog tkiva.

## **Koje su koristi od lijeka Xenpozyme utvrđene u ispitivanjima?**

Utvrđeno je da Xenpozyme poboljšava funkciju pluća i smanjuje volumen slezene i u odraslih i u djece.

U glavnom ispitivanju provedenom na 36 odraslih osoba s ASMD-om tipa B ili tipa A/B poboljšanje funkcije pluća izmjereno je promatranjem promjene difuzijskog kapaciteta pluća za ugljikov monoksid (DLco), plin koji se koristi u malim količinama za mjerenje količine kisika koji putuje iz pluća u krv. Nakon godinu dana liječenja povećanje DLco-a bilo je veće u skupini bolesnika koji su primali lijek Xenpozyme (prosječno povećanje od 22 %) u usporedbi sa skupinom koja je primala placebo, odnosno prividno liječenje (prosječno povećanje od 3 %). Kod drugih stanja povezanih s plućima povećanje veće od 15 % smatra se bitnim poboljšanjem.

Osim toga, nakon godinu dana liječenja volumen slezene u bolesnika koji su primali lijek Xenpozyme u prosjeku se smanjio za 39 %, dok se u bolesnika koji su primali placebo u prosjeku povećao za 0,5 %. Na temelju podataka za Gaucherovu bolest (drugu genetsku bolest kod koje se masti nakupljaju u slezeni i drugim organima) klinički se bitnim smatra smanjenje volumena slezene veće od 30 %.

Drugo glavno ispitivanje provedeno je na 20 bolesnika mlađih od 18 godina (4 adolescenta, 9 djece, 7 dojenčadi/male djece) koji su svi primali lijek Xenpozyme. Čini se da je lijek djelovao na isti način i imao iste učinke u djece i odraslih. Uočena su i poboljšanja funkcije pluća i smanjenje volumena slezene, uz prosječno povećanje DLco-a od 33 % i smanjenje volumena slezene od 49 % nakon jedne godine liječenja.

## **Koji su rizici povezani s lijekom Xenpozyme?**

Najčešće nuspojave lijeka Xenpozyme (koje se mogu javiti u više od 1 na 10 osoba) jesu glavobolja, vrućica, svrbež, urtikarija (osip praćen svrbežom), mučnina, povraćanje, bol u abdomenu (trbuhu), bol u mišićima i povišena razina C-reaktivnog proteina (markera upale) u krvi. U kliničkim ispitivanjima reakcije povezane s infuzijom, uključujući preosjetljivost (alergijske reakcije), pojavile su se u više od 1 na 2 odrasle osobe i u otprilike 2 na 3 djece.

Tijekom kliničkih ispitivanja prijavljene su ozbiljne nuspojave, tj. ekstrasistole (dodatni otkucaji srca koji prekidaju normalan srčani ritam) u bolesnika koji je već imao oštećenje srčanog mišića. U djece su prijavljene anafilaktičke reakcije (iznenadne, teške alergijske reakcije) i teški slučajevi urtikarije, osipa, preosjetljivosti i povišene razine alanin aminotransferaze (jetrenog enzima) u krvi. Ozbiljne reakcije preosjetljivosti povezane s infuzijom bile su češće u djece nego u odraslih.

Potpuni popis nuspojava i ograničenja povezanih s primjenom lijeka Xenpozyme potražite u uputi o lijeku.

## **Zašto je lijek Xenpozyme odobren u EU-u?**

Postoje vrlo ograničene mogućnosti liječenja za bolesnike s ASMD-om. Utvrđeno je da Xenpozyme pruža klinički značajne koristi bolesnicima s ASMD-om tipa B ili tipa A/B, poboljšava funkciju pluća i

smanjuje volumen slezene. U pogledu sigurnosti, nuspojave lijeka Xenpozyme općenito su blage do umjerene. Mogu se pojaviti ozbiljnije nuspojave, posebice teške alergijske reakcije, no smatra se da ih je moguće kontrolirati s pomoću mjera minimizacije rizika. Europska agencija za lijekove zaključila je da koristi od lijeka Xenpozyme nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

## **Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Xenpozyme?**

Od tvrtke koja stavlja lijek Xenpozyme u promet traži se da distribuira edukacijske materijale zdravstvenim radnicima, bolesnicima ili njegovateljima kako bi se lakše upravljalo rizikom od ozbiljnih nuspojava, osobito teških alergijskih reakcija povezanih s infuzijom. Oni sadržavaju informacije o znakovima i simptomima na koje treba obratiti pozornost, kao i preporučene mjere u slučaju pojave nuspojava.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Xenpozyme nalaze se također u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Xenpozyme kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave lijeka Xenpozyme pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

## **Ostale informacije o lijeku Xenpozyme**

Više informacija o lijeku Xenpozyme dostupno je na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/xenpozyme](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/xenpozyme).