



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Xenpozyme (*alfa olipudază*)

Prezentare generală a Xenpozyme și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Xenpozyme și pentru ce se utilizează?

Xenpozyme este un medicament pentru tratarea pacienților cu deficit de sфingomielinază acidă (DSMA), o afecțiune genetică numită în mod tradițional boala Niemann-Pick de tip A, A/B și B. Există trei tipuri de boală Niemann-Pick (A, B și C), cu cauze genetice diferite și simptome diferite. Xenpozyme se utilizează pentru tratarea pacienților cu tipul A/B sau cu tipul B. Este destinat tratării simptomelor de DSMA care nu au legătură cu creierul.

Boala Niemann-Pick este rară, iar Xenpozyme a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 5 decembrie 2016. Informații suplimentare cu privire la medicamentele desemnate orfane pot fi găsite aici: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-01-056.

Xenpozyme conține substanța activă alfa olipudază.

Cum se utilizează Xenpozyme?

Xenpozyme se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie supravegheat de un cadru medical cu experiență în gestionarea terapeutică a DSMA sau a altor tulburări metabolice ereditare. Xenpozyme trebuie administrat de un cadru medical cu acces la asistență medicală adecvată pentru gestionarea potențialelor reacții grave, cum ar fi reacțiile de hipersensibilitate (alergice) care afectează întregul organism (vezi punctul despre riscurile asociate de mai jos).

Xenpozyme se administrează prin perfuzie intravenoasă (picurare în venă) o dată la două săptămâni. Doza recomandată depinde de greutatea corporală a pacientului. Tratamentul începe cu o doză mică care se mărește treptat până când se ajunge la doza recomandată, de obicei după 14-16 săptămâni. În funcție de doză, durata perfuziei variază între 18 și 220 de minute (aproape 3,7 ore).

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Xenpozyme, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.



Cum acționează Xenpozyme?

Din cauza unei mutații genetice, pacienților cu DSMA de tip A, A/B și B le lipsește o enzimă funcțională, sфingomielinaza acidă, care se găsește în lizozomi (părți ale celulelor organismului care descompun substanțele nutritive și alte materiale) și care este necesară pentru descompunerea anumitor grăsimi. Acumularea de grăsimi care rezultă schimbă modul în care funcționează celulele și provoacă moartea acestora, afectând funcționarea normală a țesuturilor și a organelor, inclusiv a ficatului, splinei, plămânilor, inimii și creierului.

Substanța activă din Xenpozyme, alfa olipudaza, este o copie a enzimei sфingomielinază acidă obișnuite. Medicamentul ar trebui să înlocuiască enzima defectuoasă a pacienților și, astfel, să reducă acumularea de grăsimi în lizozomi, ameliorând unele simptome ale bolii. Totuși, nu se așteaptă ca medicamentul să amelioreze simptomele care afectează creierul, întrucât medicamentul nu poate traversa bariera hematoencefalică, care separă sângele de țesutul cerebral.

Ce beneficii a prezentat Xenpozyme pe parcursul studiilor?

S-a demonstrat că Xenpozyme îmbunătățește funcția pulmonară și reduce volumul splinei atât la adulți, cât și la copii.

Într-un studiu principal efectuat la 36 de adulți cu DSMA de tip B sau de tip A/B, îmbunătățirea funcției pulmonare a fost măsurată prin analiza modificării capacității de difuziune pulmonară a monoxidului de carbon (DPco), un tip de gaz utilizat în cantități mici pentru a măsura cantitatea de oxigen care circulă din plămâni în sânge. După un an de tratament, creșterea DPco a fost mai mare în grupul de pacienți care au primit Xenpozyme (creștere medie de 22 %) comparativ cu grupul care a primit placebo, un preparat inactiv (creștere medie de 3 %). Pe baza altor afecțiuni pulmonare, creșterea cu peste 15 % este considerată o îmbunătățire semnificativă.

În plus, după un an de tratament, volumul splinei la pacienții care au primit Xenpozyme s-a redus în medie cu 39 %, în timp ce la pacienții care au primit placebo a crescut în medie cu 0,5 %. Pe baza bolii Gaucher (altă boală genetică în care se acumulează grăsimi în splină și în alte organe), reducerea cu peste 30 % a volumului splinei este considerată semnificativă din punct de vedere clinic.

Un al doilea studiu principal a fost efectuat la 20 de pacienți cu vârsta sub 18 ani (4 adolescenți, 9 copii, 7 sugari/copii mici) care au primit Xenpozyme. Medicamentul pare să acționeze în același mod și să aibă aceleași efecte la copii și adolescenți ca la adulți. A fost observată și îmbunătățirea funcției pulmonare și a volumului splinei, cu o creștere medie a DPco de 33 % și o reducere a volumului splinei de 49 % după un an de tratament.

Care sunt riscurile asociate cu Xenpozyme?

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Xenpozyme (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt dureri de cap, febră, mâncărime, urticarie (erupții pe piele însoțite de mâncărime), greață, vărsături, dureri abdominale (de burtă), dureri musculare și valori crescute în sânge ale proteinei C reactive (un indicator al inflamației). În studiile clinice, la mai mult de 1 adult din 2 și la aproximativ 2 copii din 3 au apărut reacții asociate perfuziei, inclusiv hipersensibilitate (reacții alergice).

Reacții adverse grave raportate în timpul studiilor clinice sunt extrasistolele (bătăi suplimentare ale inimii care întrerup ritmul cardiac normal), la un pacient care avea deja leziuni ale mușchiului inimii. La copii și adolescenți au fost raportate reacții anafilactice (reacții alergice severe care apar brusc) și cazuri grave de urticarie, erupții pe piele, hipersensibilitate și valori crescute ale alanin-aminotransferazei (o enzimă hepatică) în sânge. Reacțiile grave de hipersensibilitate asociate cu perfuzia au fost mai frecvente la copii și adolescenți decât la adulți.

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Xenpozyme, citiți prospectul.

De ce a fost autorizat Xenpozyme în UE?

Pentru pacienții cu DSMA există opțiuni de tratament foarte limitate. S-a demonstrat că Xenpozyme oferă beneficii semnificative clinic la pacienții cu DSMA de tip B sau de tip A/B, îmbunătățind funcția pulmonară și reducând volumul splinei. În ceea ce privește siguranța, reacțiile adverse ale Xenpozyme sunt, de obicei, ușoare până la moderate. Pot apărea reacții adverse mai grave, în special reacții alergice severe, dar acestea sunt considerate gestionabile prin măsurile instituite pentru reducerea la minimum a riscurilor. Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Xenpozyme sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Xenpozyme?

Compania care comercializează Xenpozyme trebuie să distribuie materiale educaționale personalului medical, pacienților sau îngrijitorilor pentru a ajuta la gestionarea riscului de reacții adverse grave, în special de reacții alergice severe legate de perfuzie. Acestea includ informații despre semnele și simptomele care trebuie urmărite și acțiunile recomandate în cazul apariției reacțiilor adverse.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Xenpozyme, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Xenpozyme sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Xenpozyme sunt evaluate cu atenție și sunt luate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Xenpozyme

Informații suplimentare cu privire la Xenpozyme sunt disponibile pe site-ul agenției:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/xenpozyme.