



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nexviadyme (alfaavalglükosidaas)

Ülevaade ravimist Nexviadyme ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Nexviadyme ja milleks seda kasutatakse?

Nexviadyme on ensüümasendusravim, mida kasutatakse Pompe tõvega (harvaesinev pärilik haigus, mida põhjustab ensüümi alfaaglükosidaasi puudus) patsientide raviks. Pompe tõvega patsientidel ladestub organismi kudedes, sh südame-, kopsu- ja skeletilihastes glükogeen (polüsahhariid), mis põhjustab südame laienemist, hingamisraskusi ja lihasnõrkust.

Nexviadyme sisaldab toimeainena alfaavalglükosidaasi.

Pompe tõbi esineb harva ja Nexviadyme nimetati 26. märtsil 2014 harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetatud ravimi kohta on leitav: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141251.

Kuidas Nexviadymet kasutatakse?

Ravi Nexviadymega peab toimuma Pompe tõve või muude sama tüüpi pärilike haiguste ravis kogenud arsti järelevalve all.

Nexviadymet manustatakse veeniinfusioonina iga kahe nädala järel ja annus sõltub patsiendi kehamassist. Arst võib otsustada suurendada annust imikueas algava (varajase algusega) Pompe tõvega patsientidel, kelle seisund ei parane tavapärase annusega. Patsientidele, kel ei teki esimestel infusioonide ajal olulisi kõrvalnähte, tohib manustada infusiooni kodus.

Lisateavet Nexviadyme kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

Kuidas Nexviadyme toimib?

Nexviadyme toimeaine alfaavalglükosidaas on Pompe tõvega patsientidel puuduva ensüümi alfaaglükosidaasi variant. Alfaaglükosidaas lagundab glükogeeni glükoosiks, mida organismi rakud kasutavad energia saamiseks. Kui see ensüüm puudub, ladestub glükogeen teatud kudedesse, sh südamesse ja diafragmasse (kopsude all paiknev peamine hingamislihas), ning kahjustab neid. Puuduvat ensüümi asendades aitab alfaavalglükosidaas glükogeeni lagundada ning peatab selle ladestumise ja haiguse sümptomite tekke.



Milles seisneb uuringute põhjal Nexviadyme kasulikkus?

Ühes põhiuuringus, milles osales 100 Pompe tõvega 16–78-aastast patsienti, tõendati, et Nexviadyme oli kopsufunktsiooni parandamisel vähemalt sama efektiivne kui teine Pompe tõve asendusravim (alfaalglikosidaas). Patsientide kopsufunktsiooni mõõdeti forsseeritud vitaalkapatsiteedi (suurim õhukogus, mille patsient suudab pärast sügavat sissehingamist korraga välja hingata) protsentuaalse muutusena.

Uuringus paranes 49 nädala jooksul Nexviadymet kasutanud patsientidel kopsufunktsioon 2,9% võrra võrreldes alfaalglikosidaasi kasutanud patsientidega, kellel kopsufunktsioon paranes 0,5% võrra.

Mis riskid Nexviadymega kaasnevad?

Nexviadyme kõige sagedamad kõrvalnähud on ülitundlikkus- (allergilised) ja infusioonireaktsioonid, mis võivad esineda enam kui 1 patsiendil 4st. Rasketest allergilistest reaktsioonidest (anafülaksia) on teatatud vähem kui 2 patsiendil 100st. Muud sageli teatatud kõrvalnähud (kuni 1 patsiendil 10st) on sügelus, lööve, peavalu, urtikaaria (sügelev lööve), väsimus, iiveldus ja külmavärinad.

Nexviadyme kohta teatatud kõrvalnähtude täielik loetelu on pakendi infolehel.

Miks Nexviadyme ELis heaks kiideti?

Põhiuuring tõendas, et Nexviadyme parandas Pompe tõvega patsientide kopsutalitlust. Kõige sagedamad kõrvalnähud on allergilised ja infusioonireaktsioonid ning need on võrreldavad sarnaste ravimitega ravitud patsientidel teatatud kõrvalnähtudega.

Euroopa Raviamet otsustas, et Nexviadyme kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Mis meetmed võetakse, et tagada Nexviadyme ohutu ja efektiivne kasutamine?

Nexviadyme turustaja annab tervishoiutöötajatele teabematerjalid, sh juhised, kuidas jälgida patsiente infektsiooniriski suhtes ja manustada infusioone kodus.

Nexviadyme ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on samuti lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite puhul, tehakse Nexviadyme kasutamise kohta pidevat järelevalvet. Nexviadyme kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Nexviadyme kohta

Lisateave Nexviadyme kohta on ameti veebilehel:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nexviadyme.

Kokkuvõtte viimane uuendus: 05.2022