



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nexviadyme (*avalglukosidaasi alfa*)

Yleistiedot Nexviadymesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Nexviadyme on ja mihin sitä käytetään?

Nexviadyme on entsyymikorvaushoito, jolla hoidetaan Pompen tautia sairastavia potilaita. Pompen tauti on harvinainen perinnöllinen sairaus, jonka aiheuttaa alfa-glukosidaasi-nimisen entsyymin puutos. Pompen tautia sairastavilla potilailla kertyy glykokeenia (rakenteeltaan monimutkaisia sokereita) kehon kudoksiin, kuten sydämen, keuhkojen ja luuston lihaksiin. Tämä aiheuttaa sydämen laajenemista, hengitysvaikeuksia ja lihasheikkoutta.

Nexviadymen vaikuttava aine on avalglukosidaasi alfa.

Pompen tauti on harvinainen sairaus, ja Nexviadyme nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 26. maaliskuuta 2014. Lisää tietoa harvinaislääkkeistä löytyy täältä: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141251

Miten Nexviadyme-valmistetta käytetään?

Nexviadyme-hoito annetaan Pompen tautia tai muita samantyyppisiä perinnöllisiä sairauksia sairastavien potilaiden hoitoon perehtyneen lääkärin valvonnassa.

Nexviadyme annetaan infuusiona (tiputuksena) laskimoon joka toinen viikko. Annos määräytyy potilaan painon mukaan. Lääkäri voi päättää suurentaa annosta potilailla, joilla on Pompen taudin infantiilinen tautimuoto (varhaisessa iässä ilmenevä Pompen tauti) ja joihin tavanomaisella annoksella annettu hoito ei tehoa. Infuusiota voidaan antaa kotona, jos potilailla ei ilmene merkittäviä haittavaikutuksia ensimmäisten infusioiden antamisen jälkeen.

Lisätietoja Nexviadymen käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Nexviadyme vaikuttaa?

Nexviadymen vaikuttava aine avalglukosidaasi alfa on toisinto alfa-glukosidaasientsyymistä. Kyseinen entsyymi puuttuu Pompen tautia sairastavilta henkilöiltä. Alfa-glukosidaasi hajottaa glykokeenin glukoosiksi, jota kehon solut voivat käyttää energianlähteenä. Jos kyseistä entsyymiä ei ole, glykokeeni kertyy tiettyihin kudoksiin, kuten sydämeen ja palleaan (keuhkojen alla oleva tärkein hengityslihas), mikä vahingoittaa niitä. Korvaamalla puuttuvan entsyymin avalglukosidaasi alfa auttaa hajottamaan glykokeeniä ja näin pysäyttää sen sairauden oireita aiheuttavan kertymisen elimistöön.

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

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

An agency of the European Union



Mitä hyötyä Nexviadymesta on havaittu tutkimuksissa?

Yksi päätutkimus, johon osallistui 100 Pompen tautia sairastavaa 16–78-vuotiasta potilasta, osoitti Nexviadymen parantavan keuhkojen toimintaa vähintään yhtä tehokkaasti kuin toinen Pompen taudin korvaushoito (alglukosidaasi alfa). Potilaiden keuhkojen toimintaa mitattiin keuhkojen nopean vitaalikapasiteetin (FVC, mahdollisimman nopealla uloshengityksellä uloshengitettävän ilman enimmäismäärä) prosentuaalisena muutoksena.

Tutkimuksessa Nexviadymea 49 viikon ajan saaneiden potilaiden keuhkojen toimintaa parani 2,9 prosenttia, kun alglukosidaasi alfaa saaneiden potilaiden keuhkojen toiminta parani 0,5 prosenttia.

Mitä riskejä Nexviadymeen liittyy?

Nexviadymen yleisimmät haittavaikutukset ovat yliherkkyyssreaktiot (allergiset reaktiot) ja infuusioon liittyvät reaktiot, joita voi ilmaantua useammalle kuin yhdelle potilaalle neljästä. Vakavia allergisia reaktioita (anafylaksiaa) on ilmoitettu alle kahdella potilaalla sadasta. Muita usein ilmoitettuja haittavaikutuksia (enintään yhdellä potilaalla kymmenestä) ovat kutina, ihottuma, päänsärky, nokkosihottuma (kutiava ihottuma), väsymys, pahoinvointi ja vilunväristykset.

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Nexviadymen haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Nexviadyme on hyväksytty EU:ssa?

Päätutkimus osoitti, että Nexviadyme paransi Pompen tautia sairastavien potilaiden keuhkojen toimintaa. Yleisimmät haittavaikutukset ovat allergiset reaktiot ja infuusioon liittyvät reaktiot, ja ne ovat verrattavissa vastaavilla lääkkeillä hoidetuilla potilailla ilmoitettuihin haittavaikutuksiin.

Euroopan lääkevirasto katsoi, että Nexviadymen hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Nexviadymen turvallinen ja tehokas käyttö?

Nexviadymea markkinoiva yhtiö toimittaa terveydenhuollon ammattilaisille perehdytysmateriaalia, joka sisältää ohjeita siitä, miten potilaita seurataan infektioriskin varalta ja miten infuusio annetaan kotona.

Suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Nexviadymen käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvedoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Nexviadymen käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Nexviadymesta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Nexviadymesta

Lisää tietoa Nexviadymesta on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nexviadyme

Tämä yhteenvedo on päivitetty viimeksi 05-2022.