



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nexviadyme (*avalglukozidaza alfa*)

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

Što je Nexviadyme i za što se koristi?

Nexviadyme je enzimsko nadomjesna terapija koja se koristi za liječenje bolesnika s Pompeovom bolešću, rijetkim nasljednim poremećajem uzrokovanim nedostatkom enzima naziva alfa-glukozidaza. Kod bolesnika oboljelih od Pompeove bolesti dolazi do nakupljanja glikogena (složenih šećera) u tjelesnim tkivima, uključujući srce, pluća i skeletne mišiće, što uzrokuje povećano srce, poteškoće s disanjem i slabost mišića.

Nexviadyme sadrži djelatnu tvar koja se naziva avalglukozidaza alfa.

Pompeova bolest je rijetka bolest, a lijek Nexviadyme dobio je status „lijeka za rijetku bolest“ 26. ožujka 2014. Više informacija o statusu lijeka za rijetku bolest možete naći ovdje:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141251.

Kako se Nexviadyme primjenjuje?

Liječenje lijekom Nexviadyme mora nadzirati liječnik s iskustvom u liječenju bolesnika s Pompeovom bolešću ili drugim nasljednim bolestima te vrste.

Nexviadyme se daje u obliku infuzije (ukapavanjem) u venu jedanput svaka dva tjedna, a doza ovisi o tjelesnoj težini bolesnika. Liječnik može odlučiti povećati dozu u bolesnika s infantilnim oblikom Pompeove bolesti (Pompeova bolest koja se javlja u ranoj dobi) čije se stanje ne poboljšava primjenom redovite doze. Bolesnici koji nemaju većih nuspojava pri primjeni prvih nekoliko infuzija možda će moći primiti infuzije kod kuće.

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

Kako djeluje Nexviadyme?

Djelatna tvar lijeka Nexviadyme, avalglukozidaza alfa, verzija je enzima alfa-glukozidaze, koji nedostaje osobama oboljelima od Pompeove bolesti. Alfa-glukozidaza razgrađuje glikogen u glukozu koju stanice tijela mogu upotrebljavati za energiju. Ako taj enzim nije prisutan, glikogen se nakuplja u određenim tkivima, uključujući srce i dijafragmu (glavni mišić za disanje ispod pluća), što uzrokuje

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



njihovo oštećenje. Zamjenom enzima koji nedostaje, avalglukozidaza alfa pomaže u razgradnji glikogena i sprečava njegovo nakupljanje te uzrokovanje simptoma bolesti.

Koje su koristi od lijeka Nexviadyme utvrđene u ispitivanjima?

Jedno glavno ispitivanje koje je obuhvatilo 100 bolesnika u dobi između 16 i 78 godina s Pompeovom bolešću pokazalo je da je Nexviadyme barem jednako učinkovit u poboljšanju funkcije pluća kao druga nadomjesna terapija za Pompeovu bolest (alglukozidaza alfa). Funkcija pluća bolesnika mjerena je kao postotna promjena u njihovom forsiranom vitalnom kapacitetu (FVC, maksimalna količina zraka koja se snažno izdahne jednim dahom).

U ispitivanju su bolesnici koji su primali Nexviadyme tijekom 49 tjedana povećali svoju funkciju pluća za 2,9 % u usporedbi s bolesnicima koji su primali alglukozidazu alfa, koji su povećali funkciju pluća za 0,5 %.

Koji su rizici povezani s lijekom Nexviadyme?

Najčešće nuspojave lijeka Nexviadyme su reakcije preosjetljivosti (alergijske reakcije) i reakcije povezane s infuzijom koje se mogu javiti u više od 1 na 4 osobe; teške alergijske reakcije (anafilaksija) prijavljene su u manje od 2 na 100 osoba. Druge često prijavljene nuspojave (u manje od 1 na 10 osoba) jesu svrbež, osip, glavobolja, urtikarija (osip koji svrbi), umor, mučnina (slabost) i zimica.

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

Zašto je lijek Nexviadyme odobren u EU-u?

U glavnom ispitivanju utvrđeno je da je lijek Nexviadyme poboljšao funkciju pluća u bolesnika s Pompeovom bolešću. Najčešće su nuspojave alergijske reakcije i reakcije na infuziju i usporedive su s onima zabilježenima u bolesnika koji se liječe sličnim lijekovima.

Europska agencija za lijekove stoga je zaključila da koristi od lijeka Nexviadyme 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 Nexviadyme?

Tvrtka koja stavlja lijek Nexviadyme u promet dostavit će edukacijske materijale za zdravstvene radnike, uključujući smjernice o tome kako nadzirati bolesnike u pogledu rizika od infekcije i kako organizirati infuzije kod kuće.

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

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

Ostale informacije o lijeku Nexviadyme

Više informacija o lijeku Nexviadyme dostupno je na internetskim stranicama Agencije:

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

Pregled informacija posljednji je put ažuriran u 5. 2022.