



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nexviadyme (*alfa-avalglükózidáz*)

A Nexviadyme-re vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Nexviadyme és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Nexviadyme egy enzimpótló kezelés, amelyet az alfa-glükózidáz nevű enzim hiánya által okozott, ritka örökletes betegségben, a Pompe-kórban szenvedő betegek kezelésére alkalmaznak. A Pompe-kórban szenvedő betegeknél a szövetekben, például a szívben, a tüdőben és a vázizmokban felhalmozódó glikogén (komplex cukor) szívmegegyesbódást, légzési nehézséget és izomgyengeséget okoz.

A Nexviadyme hatóanyaga az alfa-avalglükózidáz.

Mivel a Pompe-kór „ritkának” minősül, ezért a Nexviadyme-et 2014. március 26-án „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről itt található: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141251.

Hogyan kell alkalmazni a Nexviadyme-et?

A Nexviadyme-kezelést a Pompe-kórban vagy más, hasonló típusú örökletes betegségben szenvedő betegek kezelésében tapasztalt orvosnak kell felügyelnie.

A Nexviadyme-et kéthetente egyszer, vénába adott infúzió formájában, a beteg testtömege alapján meghatározott adagban kell alkalmazni. A kezelőorvos dönthet úgy, hogy megemeli az adagot olyan, csecsemőkori kialakuló Pompe-kórban szenvedő betegeknél, akiknek állapota a szokásos adaggal nem javul. Azoknál a betegeknél, akiknél az első néhány infúzió nem okoz jelentős mellékhatásokat, az infúziók otthoni beadását lehet mérlegelni.

A Nexviadyme alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan fejti ki hatását a Nexviadyme?

A Nexviadyme hatóanyaga, az alfa-avalglükózidáz a Pompe-kórban szenvedő betegeknél hiányzó alfa-glükózidáz enzim egy változata. Az alfa-glükózidáz a glikogént glükózra bontja, amelyet a szervezet

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



sejtjei energia előállítására használhatnak. Ha az enzim hiányzik, a glikogén felhalmozódik bizonyos szövetekben, így a szívben és a rekeszizomban (a tüdő alatti fő légzőizom), és károsodást okoz bennük. A hiányzó enzim pótlásával az alfa-avalglükózidáz segíti a glikogén lebontását, illetve megakadályozza annak felhalmozódását és a betegség tüneteinek kiváltását.

Milyen előnyei voltak a Nexviadyme alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy fő vizsgálatban, amelyben 100, 16 és 78 év közötti, Pompe-kórban szenvedő beteg vett részt, a Nexviadyme legalább olyan hatékony volt a tüdőfunkció javításában, mint a Pompe-kór egy másik hormonpótló kezelése (alfa-avalglükózidáz). A betegek tüdőfunkcióját az erőltetett vitálkapacitás (FVC, az a maximális levegőmennyiség, amelyet a beteg egyszerre, erőltetetten ki tud lélegezni) százalékos változása alapján mérték.

A vizsgálatban 49 héten keresztül Nexviadyme-et kapó betegeknek a tüdőfunkció 2,9%-kal, az alfa-avalglükózidáz kapó betegeknek pedig 0,5%-kal nőtt.

Milyen kockázatokkal jár a Nexviadyme alkalmazása?

A Nexviadyme leggyakoribb mellékhatásai a túlérzékenységi (allergiás) reakciók és az infúzióhoz kapcsolódó reakciók, amelyek 4 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhetnek. Súlyos allergiás reakciókról (anafilaxis) 100 beteg közül kevesebb mint 2-nél számoltak be. Egyéb, gyakran jelentett mellékhatások (10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet) a viszketés, kiütés, fejfájás, csalánkiütés, fáradtság, hányinger és a hidegrázás.

A Nexviadyme alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Nexviadyme forgalomba hozatalát az EU-ban?

Egy fő vizsgálat igazolta, hogy a Nexviadyme javította a Pompe-kórban szenvedő betegek tüdőfunkcióját. A leggyakoribb mellékhatások az allergiás és az infúziós reakciók, amelyek összehasonlíthatóak a hasonló gyógyszerekkel kezelt betegeknek jelentkező mellékhatásokkal.

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Nexviadyme alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Nexviadyme biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Nexviadyme-et forgalmazó vállalat oktatóanyagot fog biztosítani az egészségügyi szakemberek számára, amely iránymutatást tartalmaz arra vonatkozóan, hogy miként kell a betegeknek megfigyelni a fertőzés kockázatát, és hogyan kell az otthoni infúziókat megszervezni.

A Nexviadyme biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Nexviadyme alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Nexviadyme alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Nexviadyme-mel kapcsolatos egyéb információ

A Nexviadyme-mel kapcsolatban további információ az Ügynökség honlapján található:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nexviadyme.

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 05-2022.