



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nexviadyme (*avalglucosidasi alfa*)

Sintesi di Nexviadyme e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Nexviadyme e per cosa si usa?

Nexviadyme è una terapia enzimatica sostitutiva utilizzata per il trattamento di pazienti affetti dalla malattia di Pompe, una rara patologia ereditaria causata dalla mancanza di un enzima denominato alfa-glucosidasi. I pazienti affetti dalla malattia di Pompe presentano un accumulo di glicogeno (zuccheri complessi) nei tessuti dell'organismo, tra cui cuore, polmoni e muscoli scheletrici, con conseguente ingrossamento del cuore, respirazione difficoltosa e debolezza muscolare.

Nexviadyme contiene il principio attivo avalglucosidasi alfa.

La malattia di Pompe è rara e Nexviadyme è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 26 marzo 2014. Maggiori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul sito web: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141251.

Come si usa Nexviadyme?

Il trattamento con Nexviadyme deve essere supervisionato da un medico esperto nella gestione dei pazienti affetti dalla malattia di Pompe o da altre malattie ereditarie dello stesso tipo.

Nexviadyme è somministrato per infusione (flebo) in vena una volta ogni due settimane. La dose dipende dal peso corporeo del paziente. Il medico può decidere di aumentare la dose nei pazienti con malattia di Pompe a esordio infantile (malattia di Pompe che appare in giovane età) che non migliorano con la dose regolare. Nei pazienti che non presentano effetti indesiderati importanti con le prime infusioni, le infusioni possono essere somministrate a casa.

Per maggiori informazioni sull'uso di Nexviadyme, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Nexviadyme?

Il principio attivo di Nexviadyme, avalglucosidasi alfa, è una versione dell'enzima alfa-glucosidasi, carente in persone con malattia di Pompe. Alfa-glucosidasi scompone il glicogeno in glucosio che può essere utilizzato sotto forma di energia dalle cellule dell'organismo. Se l'enzima non è presente, il glicogeno si accumula in determinati tessuti, tra cui il cuore e il diaframma (il principale muscolo



respiratorio sotto i polmoni), danneggiandoli. Sostituendo l'enzima mancante, avalglucosidasi alfa aiuta a scomporre il glicogeno e a impedire che si accumuli e causi i sintomi dell'affezione.

Quali benefici di Nexviadyme sono stati evidenziati negli studi?

Uno studio principale condotto su 100 pazienti di età compresa tra 16 e 78 anni affetti dalla malattia di Pompe ha dimostrato che Nexviadyme era almeno altrettanto efficace nel migliorare la funzione polmonare di un'altra terapia sostitutiva per la malattia di Pompe (alglucosidasi alfa). La funzione polmonare dei pazienti è stata misurata come variazione percentuale della loro capacità vitale forzata (FVC, la quantità massima di aria espirata con forza in un solo respiro).

Nello studio, i pazienti trattati con Nexviadyme per 49 settimane hanno aumentato la funzione polmonare del 2,9 % rispetto ai pazienti trattati con alglucosidasi alfa, che hanno aumentato la funzione polmonare dello 0,5 %.

Quali sono i rischi associati a Nexviadyme?

Gli effetti indesiderati più comuni di Nexviadyme sono reazioni di ipersensibilità (allergiche) e reazioni correlate a infusione, che possono riguardare più di 1 persona su 4; reazioni allergiche gravi (anafilassi) sono state segnalate in meno di 2 persone su 100. Altri effetti indesiderati segnalati frequentemente (fino a 1 persona su 10) sono prurito, eruzione cutanea, cefalea, orticaria (esantema pruriginoso), stanchezza, nausea e brividi.

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Nexviadyme, vedere il foglio illustrativo.

Perché Nexviadyme è autorizzato nell'UE?

Uno studio principale ha mostrato che Nexviadyme ha migliorato la funzione polmonare dei pazienti affetti dalla malattia di Pompe. Gli effetti indesiderati più comuni sono reazioni allergiche e correlate a infusione e sono paragonabili a quelli segnalati nei pazienti trattati con medicinali simili.

Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Nexviadyme sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Nexviadyme?

La ditta che commercializza Nexviadyme fornirà agli operatori sanitari materiale informativo comprendente istruzioni su come monitorare i pazienti a rischio di infezione e su come organizzare infusioni a casa.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Nexviadyme sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Nexviadyme sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati riportati con Nexviadyme sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Nexviadyme

Ulteriori informazioni su Nexviadyme sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nexviadyme.

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 05-2022.