



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Nexviadyme (*avalgliukozidazė alfa*)

Nexviadyme apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

### Kas yra Nexviadyme ir kam jis vartojamas?

Nexviadyme – tai vaistas, skirtas pakaitinei fermentų terapijai, kuri taikoma pacientams, sergantiems Pompe liga – reta paveldima liga, kurią sukelia fermento alfa-gliukozidazės trūkumas. Pompe liga sergančių pacientų kūno audiniuose, įskaitant širdį, plaučius ir skeleto raumenis, kaupiasi glikogenas (sudėtinis cukrus). Dėl to padidėja širdis, atsiranda kvėpavimo sutrikimų ir raumenų silpnumas.

Nexviadyme sudėtyje yra veikliosios medžiagos avalgliukozidazės alfa.

Pompe liga laikoma reta, todėl 2014 m. kovo 26 d. Nexviadyme buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams rasite čia: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141251](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141251).

### Kaip vartoti Nexviadyme?

Gydymą Nexviadyme turi prižiūrėti gydytojas, turintis Pompe liga ar kitomis paveldimomis tos pačios rūšies ligomis sergančių pacientų gydymo patirties.

Kartą kas dvi savaites skiriama Nexviadyme infuzija (vaistas lašinamas į veną). Jo dozė nustatoma atsižvelgiant į paciento kūno svorį. Kūdikių Pompe liga sergantiems (ankstyvame amžiuje pasireiškianti Pompe liga) pacientams, kurių būklė po įprastos dozės nepagerėja, gydytojas gali nuspręsti padidinti vaisto dozę. Pacientams, kuriems po kelių pirmų infuzijų nepasireiškia jokie sunkesnio šalutinio poveikio, infuzijas galima atlikti namuose.

Daugiau informacijos apie Nexviadyme vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

### Kaip veikia Nexviadyme?

Nexviadyme veikioji medžiaga avalgliukozidazė alfa yra fermento alfa-gliukozidazės, kurio trūksta Pompe liga sergantiems žmonėms, kopija. Alfa-gliukozidazė suskaido glikogeną į gliukozę, kurią organizmo ląstelės gali panaudoti energijai gaminti. Jei šio fermento nėra, glikogenas kaupiasi tam tikruose audiniuose, įskaitant širdį ir diafragmą (pagrindinį po plaučiais esantį kvėpavimo raumenį), taip juos pažeisdamas. Avalgliukozidazė alfa pakeičia trūkstamą fermentą ir padeda skaidyti glikogeną ir neleidžia jam kauptis bei sukelti ligos simptomų.

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

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

An agency of the European Union



## **Kokia Nexviadyme nauda nustatyta tyrimų metu?**

Atlikus vieną pagrindinį tyrimą, kuriame dalyvavo 100 Pompe liga sergančių pacientų nuo 16 iki 78 metų, nustatyta, kad Nexviadyme ne mažiau veiksmingai pagerino plaučių funkciją nei kita (algliukozidazės alfa) pakaitinė terapija Pompe ligai gydyti. Pacientų plaučių funkcija buvo vertinama pagal forsutos gyvybinės plaučių talpos (FGT, didžiausias oro tūris, kurį pacientas gali forsuoti iškvėpti vienu kartu) procentinį pokytį.

Atliekant tyrimą pacientų, kurie 49 savaites buvo gydomi Nexviadyme, plaučių funkcija pagerėjo 2,9 proc., palyginti su 0,5 proc. pacientų, kurie buvo gydomi algliukozidaze alfa, grupėje.

## **Kokia rizika susijusi su Nexviadyme vartojimu?**

Dažniausias Nexviadyme šalutinis poveikis yra padidėjusio jautrumo (alerginės) reakcijos ir su infuzija susijusios reakcijos, kurios gali pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 4; sunkios alerginės reakcijos (anafilaksija) pasireiškė mažiau nei 2 žmonėms iš 100. Kitas dažnai nurodytas šalutinis poveikis (pasireiškė ne daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra niežulys, bėrimas, galvos skausmas, dilgėlinė (niežintis bėrimas), nuovargis, pykinimas ir šaltkrėtis.

Išsamų visų Nexviadyme šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

## **Kodėl Nexviadyme buvo registruotas ES?**

Pagrindinio tyrimo rezultatai parodė, kad Nexviadyme pagerina Pompe liga sergančių pacientų plaučių funkciją. Dažniausias šalutinis poveikis yra alerginės reakcijos ir su infuzija susijusios reakcijos; jis panašus į nustatytą panašiais vaistais gydomiems pacientams.

Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Nexviadyme nauda yra didesnė už jo keliamą riziką ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

## **Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Nexviadyme vartojimą?**

Nexviadyme prekiaujanti bendrovė sveikatos priežiūros specialistus aprūpins šviečiamąja medžiaga, įskaitant rekomendacijas, kaip stebėti pacientus dėl infekcijos rizikos ir kaip atlikti infuzijas namuose.

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Nexviadyme vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Nexviadyme vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Nexviadyme šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

## **Kita informacija apie Nexviadyme**

Daugiau informacijos apie Nexviadyme rasite Agentūros tinklalapyje adresu: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nexviadyme](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nexviadyme).

Ši santrauka paskutinį kartą atnaujinta 2022-05.