



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nexviadyme (*alfa-avalglikozidāze*)

Nexviadyme pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir *Nexviadyme* un kāpēc tās lieto?

Nexviadyme ir fermentu aizstājterapija, ko lieto, lai ārstētu pacientus ar Pompes slimību – retu iedzimtu slimību, ko izraisa fermenta alfa-glikozidāzes trūkums. Pacientiem ar Pompes slimību notiek glikogēna (kompleksu cukuru) uzkrāšanās organisma audos, tostarp sirdī, plaušās un skeleta muskuļos, izraisot sirds palielināšanos, elpošanas grūtības un muskuļu vājumu.

Nexviadyme satur aktīvo vielu alfa-avalglikozidāzi.

Pompes slimība ir "reta", un 2014. gada 26. martā *Nexviadyme* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141251.

Kā lieto *Nexviadyme*?

Ārstēšanu ar *Nexviadyme* uzrauga ārsts ar pieredzi Pompes slimības vai citu tāda paša veida iedzimtu slimību pacientu ārstēšanā.

Nexviadyme tiek ievadītas infūzijas veidā vēnā (pa pilienam) ik pēc divām nedēļām, un deva ir atkarīga no pacienta ķermeņa masas. Ārsts var izlemt palielināt devu pacientiem ar Pompes slimības infantilo formu (Pompes slimību, kas rodas agrīnā vecumā), kuriem ar parasto devu nepanāk uzlabošanos. Pacientiem, kuriem, ievadot dažas pirmās infūzijas, nav nekādu būtisku blakusparādību, var ievadīt infūzijas mējas apstākļos.

Papildu informāciju par *Nexviadyme* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

Kā *Nexviadyme* darbojas?

Nexviadyme aktīvā viela alfa-avalglikozidāze ir versija fermentam alfa-glikozidāzei, kuras trūkst cilvēkiem ar Pompes slimību. Alfa-glikozidāze noārda glikogēnu par glikozi, ko organisma šūnas var izmantot enerģijas iegūšanai. Ja šā fermenta nav, glikogēns uzkrājas noteiktos audos, tostarp sirdī un diafragmā (galvenajā elpošanas muskulī zem plaušām), izraisot to bojājumus. Aizstājot trūkstošo fermentu, alfa-avalglikozidāze palīdz noārdīt glikogēnu un aptur tā uzkrāšanos, kas izraisa slimības simptomus.

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



Kādi *Nexviadyme* ieguvumi atklāti pētījumos?

Vienā pamatpētījumā, iesaistot 100 pacientus vecumā no 16 līdz 78 gadiem ar Pompes slimību, pierādīja, ka *Nexviadyme* vismaz tikpat efektīvi uzlabo plaušu funkciju kā cita Pompes slimības aizstājterapija (alfa-alglikozidāze). Pacientu plaušu funkciju mērīja kā procentuālās izmaiņas forsētajā vitālajā kapacitātē (FVK, maksimālajā gaisa daudzumā, kas forsēti izelpots vienā elpas vilcienā).

Pētījumā pacientiem, kuri 49 nedēļas saņēma *Nexviadyme*, plaušu funkcija palielinājās par 2,9 % salīdzinājumā ar pacientiem, kuri saņēma alfa-alglikozidāzi un kuriem plaušu funkcija palielinājās par 0,5 %.

Kāds risks pastāv, lietojot *Nexviadyme*?

Visbiežākās *Nexviadyme* blakusparādības ir paaugstinātas jutības (alerģiskas) reakcijas un ar infūziju saistītas reakcijas, kas var rasties vairāk nekā 1 no 4 cilvēkiem. Par smagām alerģiskām reakcijām (anafilaksi) ziņots mazāk nekā 2 no 100 cilvēkiem. Citas bieži ziņotās blakusparādības (līdz 1 no 10 cilvēkiem) ir nieze, izsitumi, galvassāpes, nātrene (niezoši izsitumi), nogurums, slikta dūša (nelabums) un drebuļi.

Pilnu visu blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot *Nexviadyme*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Kāpēc *Nexviadyme* ir reģistrētas ES?

Pamatpētījumā pierādīja, ka *Nexviadyme* uzlabo plaušu darbību pacientiem ar Pompes slimību. Visbiežāk novērotās nevēlamās blakusparādības ir alerģiskas reakcijas un reakcijas uz infūziju, un tās ir salīdzināmas ar blakusparādībām pacientiem, kurus ārstē ar līdzīgām zālēm.

Tāpēc Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Nexviadyme*, pārsniedz šo zāļu radīto risku un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Nexviadyme* lietošanu?

Uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Nexviadyme*, nodrošinās veselības aprūpes speciālistiem izglītojošu materiālu, kurā būs iekļauti norādījumi par pacientu uzraudzību attiecībā uz infekcijas risku un infūziju organizēšanu mājās.

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti arī ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Nexviadyme* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Nexviadyme* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Nexviadyme* lietošanu saistītās iespējamās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Nexviadyme*

Sīkāka informācija par *Nexviadyme* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:

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

Šis kopsavilkums pēdējo reizi atjaunināts 2022. gada maijā.