



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nexviadyme (*avalglucosidase alfa*)

Ħarsa ġenerali lejn Nexviadyme u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Nexviadyme u għal xiex jintuża?

Nexviadyme huwa terapija ta' sostituzzjoni tal-enzimi użat fil-kura ta' pazjenti bil-marda ta' Pompe, disturb rari li jintiret ikkawżat min-nuqqas ta' enzima msejġha alpha-glucosidase. Pazjenti bil-marda ta' Pompe għandhom akkumulazzjoni ta' glikoġenu (zokkor kumpless) fit-tessuti tal-ġisem, inkluż il-qalb, il-pulmun u l-muskoli skelettriċi, li jikkawżaw tkabbir tal-qalb, diffikultajiet fit-teħid tan-nifs u dgħufija tal-muskoli.

Nexviadyme fih is-sustanza attiva avalglucosidase alfa.

Il-marda ta' Pompe hija rari, u Nexviadyme ġie denominat bħala "medicina orfni" (medicina li tintuża f'mard rari) fis-26 ta' Marzu 2014. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tinstab hawn: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141251.

Kif jintuża Nexviadyme?

Il-kura b'Nexviadyme għandha tiġi ssorveljata minn tabib li jkollu esperjenza fil-ġestjoni ta' pazjenti bil-marda ta' Pompe jew mard ereditarju ieħor tal-istess tip.

Nexviadyme jingħata bħala infużjoni (dripp) fil-vina darba kull ġimagħtejn, u d-doża tiddependi mill-piż tal-ġisem tal-pazjent. Tabib jista' jiddeciedi li jżid id-doża għal pazjenti bil-marda ta' Pompe li tibda fl-infanza (marda ta' Pompe li tidher f'età bikrija) li ma jmorrux għall-aħjar bid-doża regolari. Il-pazjenti li ma jkollhom l-ebda effett sekondarju maġġuri mal-ewwel ftit infużjonijiet jista' jkollhom l-infużjonijiet tagħhom mogħtija d-dar.

Għal iktar informazzjoni dwar l-użu ta' Nexviadyme, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispiżjar tiegħek.

Kif jaħdem Nexviadyme?

Is-sustanza attiva f'Nexviadyme, l-avalglucosidase alfa, hija verżjoni tal-enzima alpha-glucosidase, li hija nieqsa fil-persuni li jbatu mill-marda ta' Pompe. L-alpha-glucosidase tkisser il-glikoġenu fil-glukożju li jista' jintuża għall-enerġija miċ-ċelloli tal-ġisem. Jekk l-enzima ma tkunx preżenti, il-glikoġenu jakkumula f'ċerti tessuti, inkluż fil-qalb u fid-dijaframma (il-muskolu tat-teħid tan-nifs

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



ewlieni taht il-pulmuni), u jikkawżalhom ħsara. Billi tissostitwixxi l-enzima nieqsa, l-avalglucosidase alfa tgħin biex tkisser il-glikoġenu u twaqqfu milli jakkumula u jikkawża s-sintomi tal-kundizzjoni.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Nexviadyme li ħarġu mill-istudji?

Studju ewlieni wieħed li involva 100 pazjent ta' bejn is-16 u t-78 sena bil-marda ta' Pompe wera li Nexviadyme kien tal-inqas effettiv daqs terapija ta' sostituzzjoni oħra għall-marda ta' Pompe (alglucosidase alfa) fit-titjib tal-funzjoni tal-pulmun. Il-funzjoni tal-pulmun tal-pazjenti tkejlet bħala l-bidla percentwali fil-kapaċità vitali forzata tagħhom (FVC - forced vital capacity, l-ammont massimu ta' arja li toħroġ bil-forza f'nifs wieħed).

Fl-istudju, il-pazjenti li ngħataw Nexviadyme għal 49 ġimgħa žiedu l-funzjoni tal-pulmun tagħhom bi 2.9 % meta mqabbla mal-pazjenti li ngħataw alglucosidase alfa, li žiedu l-funzjoni tal-pulmun tagħhom b'0.5 %.

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Nexviadyme?

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Nexviadyme huma reazzjonijiet ta' sensitività eċċessiva (allergiċi) u reazzjonijiet assoċjati mal-infużjoni, li jistgħu jaffettwaw aktar minn persuna 1 minn kull 4; reazzjonijiet allergiċi severi (anafilassi) ġew irrapportati f'inqas minn 2 persuni minn kull 100. Effetti sekondarji oħra rrappurtati b'mod frekwenti (sa persuna 1 minn kull 10) huma ħakk, raxx, uġiġħ ta' ras, urtikarja (raxx bil-ħakk), għeja, nawżja (thossok ma tiflaħx), u tertir.

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet ta' Nexviadyme, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Għaliex Nexviadyme ġie awtorizzat fl-UE?

Studju ewlieni wera li Nexviadyme tejjeb il-funzjoni tal-pulmun tal-pazjenti bil-marda ta' Pompe. L-effetti sekondarji l-aktar komuni huma reazzjonijiet allergiċi u dawk assoċjati mal-infużjoni u huma komparabbli ma' dawk irrappurtati f'pazjenti kkurati b'medicini simili.

L-Aġenzija Ewropea għall-Medicini, għaldaqstant, iddecidiet li l-benefiċċji ta' Nexviadyme huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

X'miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Nexviadyme?

Il-kumpanija li tqiegħed Nexviadyme fis-suq se tipprovdi materjal edukattiv għall-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa inkluż gwida dwar kif il-pazjenti għandhom jiġu mmonitorjati għar-riskju ta' infezzjoni u kif għandhom jiġu organizzati l-infużjonijiet fid-dar.

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi wkoll ir-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Nexviadyme.

Bħal fil-każ tal-medicini kollha, id-*data* dwar l-użu ta' Nexviadyme hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji ssuspettati b'Nexviadyme huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex ttiproteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Nexviadyme

Aktar informazzjoni dwar Nexviadyme tinstab fis-sit web tal-Aġenzija:

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

Din il-ħarsa ġenerali ġiet aġġornata l-aħħar f'05-2022.