



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/329151/2022
EMA/H/C/004850

Xenpozyme (*olipudase alfa*)

Ħarsa ġenerali lejn Xenpozyme u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Xenpozyme u għal xiex jintuża?

Xenpozyme huwa medicina għall-kura ta' pazjenti b'defiċjenza tal-aċidu sphinomyelinase (ASMD), kundizzjoni ġenetika, storikament magħrufa bħala l-marda Niemann-Pick tat-tip A, A/B u B. Hemm tliet tipi ta' marda Niemann-Pick (A, B u C), b'kawżi ġenetiċi differenti u b'sintomi differenti. Xenpozyme jintuża biex jikkura pazjenti bit-tip A/B jew bit-tip B. Huwa maħsub biex jikkura s-sintomi ta' ASMD li mhumx relatati mal-moħħ.

Il-marda ta' Niemann-Pick hija rari, u Xenpozyme ġie denominat bħala "medicina orfni" (medicina li tintuża f'mard rari) fil-5 ta' Diċembru 2016. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tinstab hawn: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-01-056.

Xenpozyme fih is-sustanza attiva olipudase alfa.

Kif jintuża Xenpozyme?

Xenpozyme jista' jinkiseb biss b'riċetta ta' tabib u l-kura għandha tiġi sorveljata minn professjonist fil-qasam tal-kura tas-saħħa b'esperjenza fil-ġestjoni ta' ASMD jew disturbi metabolici oħra li jintirtu. Xenpozyme għandu jingħata minn professjonist fil-qasam tal-kura tas-saħħa b'aċċess għal appoġġ mediku xieraq biex jimmaniġġja reazzjonijiet severi potenzjali bħal reazzjonijiet ta' sensitività eċċessiva (allergiċi) li jaffettwaw il-ġisem kollu (ara t-taqsimha tar-riskji hawn taħt).

Xenpozyme jingħata permezz ta' infużjoni (dripp) ġo vina kull ġimagħtejn. Id-doża rakkomandata tiddependi mill-piż tal-ġisem tal-pazjent. Il-kura tibda b'doża baxxa li tiżdied gradwalment sakemm tintlaħaq id-doża rakkomandata, normalment wara 14 sa 16-il ġimgħa. Skont id-doża, it-tul tal-infużjoni jvarja bejn 18 u 220 minuta (kważi 3.7 sigħat).

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

Kif jaħdem Xenpozyme?

Minhabba mutazzjoni ġenetika, pazjenti b'ASMD tat-tip A, A/B u B għandhom nuqqas ta' enzima li tiffunzjona, aċidu sphinomyelinase, li tinsab fil-lizożomi (partijiet taċ-ċelloli tal-ġisem li jkissru n-nutrijenti u materjali oħra) u hija meħtieġa għat-tkissir ta' ċerti xaħmijiet. L-akkumulazzjoni ta'

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



xaħmijiet li tirriżulta tbiddel il-mod kif jaħdmu ċ-ċelloli u gġegħlhom imutu, u dan jaffettwa l-funzjonament normali tat-tessuti u l-organi, inkluż il-fwied, il-milsa, il-pulmuni, il-qalb u l-moħħ.

Is-sustanza attiva f'Xenpozyme, l-olipudase alfa, hija kopja tal-enzima tal-aċidu sphinomyelinase normali. Hija mistennija li tissostitwixxi l-enzima difettuża tal-pazjenti u b'hekk tnaqqas l-akkumulazzjoni ta' xaħmijiet fil-liżozomi u ttaffi xi whud mis-sintomi tal-marda. Madankollu, mhijiex mistennija li ttejjeb is-sintomi li jaffettwaw il-moħħ minħabba li l-medicina mhijiex kapaċi taqsam il-barriera ematoenċefalika li tissepara d-demem mit-tessut tal-moħħ.

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

Xenpozyme ntwerha li ttejjeb il-funzjoni tal-pulmun u jnaqqas il-volum tal-milsa kemm fl-adulti kif ukoll fit-tfal.

Fi studju ewlieni mwettaq f'36 adult b'ASMD tat-tip B jew tat-tip A/B, it-titjib fil-funzjoni tal-pulmun tkejjel billi giet osservata l-bidla fil-kapaċità tad-diffużjoni tal-pulmun għall-monossidu tal-karbonju (DLco), tip ta' gass użat fi kwantitajiet żgħar biex ikejjel kemm jgħaddi ossiġenu mill-pulmuni għad-demem. Wara sena ta' kura, iż-żieda fid-DLco kienet akbar fil-grupp ta' pazjenti li rċevew Xenpozyme (żieda medja ta' 22 %) meta mqabbla mal-grupp li rċieva placebo, kura finta (żieda medja ta' 3 %). Abbażi ta' kundizzjonijiet oħra relatati mal-pulmun, żieda akbar minn 15 % titqies bħala titjib sinifikanti.

Barra minn hekk, wara sena ta' kura, il-volum tal-milsa f'pazjenti li ngħataw Xenpozyme naqas b'medja ta' 39 %, filwaqt li żdied b'medja ta' 0.5 % f'pazjenti li ngħataw il-placebo. Skont il-marda ta' Gaucher (marda ġenetika oħra fejn ix-xaħam jakkumula fil-milsa u f'organi oħra), tnaqqis ta' aktar minn 30 % fil-volum tal-milsa jitqies klinikament sinifikanti.

Sar studju ewlieni ieħor fuq 20 pazjent taħt l-età ta' 18-il sena (4 adolexxenti, 9 itfal, 7 trabi/tfal żgħar) li kollha rċevew Xenpozyme. Il-medicina dehret li taħdem bl-istess mod u li għandha l-istess effetti fit-tfal u fl-adulti. Ġie osservat ukoll titjib fil-funzjoni tal-pulmun u fil-volum tal-milsa, b'żieda medja fid-DLco ta' 33 % u tnaqqis fil-volum tal-milsa ta' 49 % wara sena ta' kura.

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Xenpozyme?

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Xenpozyme (li jistgħu jaffettwaw aktar minn persuna 1 minn kull 10) huma wġiġħ ta' ras, deni, ħakk, urtikarja (raxx bil-ħakk), nawżja (tħossok ma tiflaħx), rimettar, uġiġħ addominali (fiż-żaqq), uġiġħ fil-muskoli u żieda fil-livell tad-demem tal-proteina C-reattiva (markatur tal-infjammazzjoni). Fi provi kliniċi, reazzjonijiet assoċjati mal-infużjoni, inkluż sensittività eċċessiva (reazzjonijiet allergiċi), sehħew f'aktar minn wieħed minn kull żewġ adulti u f'madwar tnejn minn kull tlett itfal.

Effetti sekondarji serji li ġew irrapportati waqt il-provi kliniċi huma extrasystoles (taħbit tal-qalb addizzjonali li jinterrompi r-ritmu normali tal-qalb) f'pazjent li diġà kellu ħsara fil-muskolu tal-qalb. Fit-tfal ġew irrapportati reazzjoni anafilattika (reazzjoni allergika f'daqqa u severa) u każijiet severi ta' urtikarja, raxx, sensittività eċċessiva u żieda fil-livell tad-demem tal-alanina aminotransferazi (enzima fil-fwied). Reazzjonijiet serji ta' sensittività eċċessiva marbuta mal-infużjoni kienu aktar komuni fit-tfal milli fl-adulti.

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

Għaliex Xenpozyme ġie awtorizzat fl-UE?

Hemm għażliet ta' kura limitati ħafna għal pazjenti b'ASMD. Xenpozyme ntwerha li jipprovdi benefiċċji klinikament sinifikanti lil pazjenti b'ASMD tat-tip B jew tat-tip A/B, billi jtejjeb il-funzjoni tal-pulmun u jnaqqas il-volum tal-milsa. F'termini ta' sigurtà, l-effetti sekondarji ta' Xenpozyme huma ġeneralment ħfief sa moderati. Jistgħu jsejnhu effetti sekondarji aktar serji, b'mod partikolari reazzjonijiet allergiċi severi, iżda huma kkunsidrati maniġġabbli bil-miżuri tal-imminimizzar tar-riskju fis-sejnh. L-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini ddeċidiet li l-benefiċċji ta' Xenpozyme 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' Xenpozyme?

Il-kumpanija li tqiegħed Xenpozyme fis-suq hija mitluba tqassam materjal edukattiv lill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa, lill-pazjenti jew lil dawk li jieħdu ħsiebhom biex tgħin fil-ġestjoni tar-riskju ta' effetti sekondarji serji, b'mod partikolari reazzjonijiet allergiċi severi marbuta mal-infużjoni. Dawn jinkludu informazzjoni dwar is-sinjali u s-sintomi li wieħed għandu joqgħod attent għalihom u azzjonijiet rakkomandati jekk isejnhu effetti sekondarji.

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' Xenpozyme.

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

Informazzjoni oħra dwar Xenpozyme

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

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