



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nexviadyme (*avalglucosidase alfa*)

Um resumo sobre Nexviadyme e porque está autorizado na UE

O que é Nexviadyme e para que é utilizado?

Nexviadyme é uma terapêutica de substituição enzimática utilizada no tratamento de doentes com a doença de Pompe, uma doença hereditária rara causada pela falta de uma enzima denominada alfa-glucosidase. Nos doentes com a doença de Pompe dá-se uma acumulação de glicogénio (açúcares complexos) nos tecidos corporais, incluindo o coração, os pulmões e os músculos esqueléticos, que causa aumento do coração, dificuldades respiratórias e fraqueza muscular.

Nexviadyme contém a substância ativa avalglucosidase alfa.

A doença de Pompe é uma doença rara, e Nexviadyme foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) a 26 de março de 2014. Mais informações sobre a designação órfã podem ser encontradas aqui: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141251.

Como se utiliza Nexviadyme?

O tratamento com Nexviadyme deve ser supervisionado por um médico com experiência no tratamento de doentes com a doença de Pompe ou outras doenças hereditárias do mesmo tipo.

Nexviadyme é administrado por perfusão (administração gota a gota) numa veia, uma vez de duas em duas semanas, e a dose depende do peso corporal do doente. O médico pode decidir aumentar a dose em doentes com doença de Pompe com início infantil (doença de Pompe que surge numa idade precoce) que não têm melhorias com a dose habitual. Os doentes que não tiverem efeitos secundários graves nas primeiras perfusões podem receber as seguintes em casa.

Para mais informações sobre a utilização de Nexviadyme, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Como funciona Nexviadyme?

A substância ativa de Nexviadyme, a avalglucosidase alfa, é uma versão da enzima alfa-glucosidase que está em falta nas pessoas com a doença de Pompe. A alfa-glucosidase degrada o glicogénio em glucose que pode ser utilizada para a produção de energia pelas células do organismo. Se a enzima não estiver presente, o glicogénio acumula-se em certos tecidos, incluindo o coração e o diafragma (o



principal músculo respiratório, localizado sob os pulmões), danificando-os. Ao substituir a enzima em falta, a avalglucosidase alfa ajuda a degradar o glicogénio e a impedir que este se acumule e cause os sintomas da doença.

Quais os benefícios demonstrados por Nexviadyme durante os estudos?

Um estudo principal que incluiu 100 doentes com idades compreendidas entre os 16 e os 78 anos com doença de Pompe mostrou que Nexviadyme foi pelo menos tão eficaz na melhoria da função pulmonar como outra terapêutica de substituição para a doença de Pompe (alglucosidase alfa). A função pulmonar dos doentes foi medida como a alteração percentual da sua capacidade vital forçada (FVC, a quantidade máxima de ar expirado com força depois de uma inspiração).

No estudo, os doentes que receberam Nexviadyme durante 49 semanas aumentaram a função pulmonar em 2,9 %, em comparação com os doentes que receberam a alglucosidase alfa, que aumentaram a função pulmonar em 0,5 %.

Quais são os riscos associados a Nexviadyme?

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Nexviadyme são reações de hipersensibilidade (alérgicas) e reações associadas à perfusão, que podem afetar mais de 1 em cada 4 pessoas; foram comunicadas reações alérgicas graves (anafilaxia) em menos de 2 em cada 100 pessoas. Outros efeitos secundários frequentemente comunicados (observados em 1 em cada 10 pessoas) são comichão, erupção cutânea, dores de cabeça, urticária (erupção cutânea com comichão), cansaço, náuseas (sensação de enjoo) e arrepios.

Para a lista completa dos efeitos secundários e das restrições de utilização relativamente a Nexviadyme, consulte o Folheto Informativo.

Porque está Nexviadyme autorizado na UE?

Um estudo principal demonstrou que Nexviadyme melhorou a função pulmonar dos doentes com doença de Pompe. Os efeitos secundários mais frequentes são reações alérgicas e reações à perfusão; estes efeitos são comparáveis aos que ocorrem em doentes tratados com medicamentos similares.

A Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Nexviadyme são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Nexviadyme?

A empresa que comercializa Nexviadyme fornecerá material informativo aos profissionais de saúde, que incluirá orientações sobre a monitorização do risco de infeção e as perfusões no domicílio.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram igualmente incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Nexviadyme.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Nexviadyme são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Nexviadyme são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Nexviadyme

Mais informações sobre Nexviadyme podem ser encontradas no sítio da internet da Agência:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nexviadyme.

Este resumo foi atualizado pela última vez em 05-2022.