



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nexviadyme (*alfa-avalglucozidază*)

Prezentare generală a Nexviadyme și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Nexviadyme și pentru ce se utilizează?

Nexviadyme este un tratament de substituție enzimatică utilizat pentru tratarea pacienților cu boala Pompe, o afecțiune ereditară rară cauzată de lipsa unei enzime numite alfa-glucozidază. Pacienții cu boala Pompe au o acumulare de glicogen (zaharuri complexe) în țesuturile organismului, inclusiv în inimă, plămâni și mușchii scheletici, cauzând inimă mărită, dificultăți de respirație și slăbiciune musculară.

Nexviadyme conține substanța activă alfa-avalglucozidază.

Boala Pompe este rară, iar Nexviadyme a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 26 martie 2014. Informații suplimentare cu privire la medicamentele desemnate orfane pot fi găsite aici: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141251.

Cum se utilizează Nexviadyme?

Tratamentul cu Nexviadyme trebuie supravegheat de un medic cu experiență în abordarea terapeutică a pacienților cu boala Pompe sau cu alte boli ereditare de același tip.

Nexviadyme se administrează sub formă de perfuzie intravenoasă (picurare în venă) o dată la două săptămâni, iar doza depinde de greutatea pacientului. Medicul poate decide mărirea dozei la pacienții cu boală Pompe cu debut infantil (boală Pompe care apare la o vârstă fragedă) care nu se ameliorează cu doza obișnuită. Pacienților care nu au reacții adverse majore la primele câteva perfuzii li se pot administra perfuzii la domiciliu.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Nexviadyme, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Nexviadyme?

Substanța activă din Nexviadyme, alfa-avalglucozidaza, este o versiune a enzimei alfa-glucozidază, care lipsește la persoanele cu boala Pompe. Alfa-glucozidaza descompune glicogenul în glucoză, care poate fi utilizată de celulele organismului în scop energetic. În lipsa acestei enzime, glicogenul se acumulează în anumite țesuturi, inclusiv în inimă și în diafragmă (principalul mușchi respirator situat

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



sub plămâni), provocând leziuni la nivelul acestora. Înlocuind enzima care lipsește, alfa-avalglucozidaza ajută la descompunerea glicogenului și împiedică acumularea acestuia și apariția simptomelor afecțiunii.

Ce beneficii a prezentat Nexviadyme pe parcursul studiilor?

Un studiu principal, care a cuprins 100 de pacienți cu vârsta între 16 și 78 de ani cu boala Pompe, a arătat că Nexviadyme a fost cel puțin la fel de eficace în îmbunătățirea funcției pulmonare ca alt tratament de substituție pentru boala Pompe (alfa-avalglucozidază). Funcția pulmonară a pacienților a fost măsurată ca modificare procentuală a capacității vitale forțate (CVF, cantitatea maximă de aer expirată forțat într-o singură respirație).

În cadrul studiului, pacienții care au primit Nexviadyme timp de 49 de săptămâni și-au îmbunătățit funcția pulmonară cu 2,9 %, față de pacienții care au primit alfa-avalglucozidază, care și-au îmbunătățit funcția pulmonară cu 0,5 %.

Care sunt riscurile asociate cu Nexviadyme?

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Nexviadyme sunt reacțiile de hipersensibilitate (alergice) și reacțiile asociate perfuziei, care pot afecta mai mult de 1 persoană din 4; au fost raportate reacții alergice severe (anafilaxie) la mai puțin de 2 persoane din 100. Alte reacții adverse raportate frecvent (la cel mult 1 persoană din 10) sunt mâncărimi, erupții pe piele, dureri de cap, urticarie (erupții pe piele însoțite de mâncărime), oboseală, greață și frisoane.

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Nexviadyme, citiți prospectul.

De ce a fost autorizat Nexviadyme în UE?

Un studiu principal a arătat că Nexviadyme a îmbunătățit funcția pulmonară a pacienților cu boala Pompe. Cele mai frecvente reacții adverse sunt reacțiile alergice și reacțiile asociate perfuziei și sunt comparabile cu cele raportate la pacienții tratați cu medicamente similare.

Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Nexviadyme sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Nexviadyme?

Compania care comercializează Nexviadyme va furniza materiale educaționale pentru personalul medical, inclusiv orientări privind monitorizarea pacienților în vederea riscului de infecție și administrarea perfuziilor la domiciliu.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Nexviadyme, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Nexviadyme sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Nexviadyme sunt evaluate cu atenție și sunt luate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Nexviadyme

Informații suplimentare cu privire la Nexviadyme sunt disponibile pe site-ul agenției:

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

Această prezentare generală a fost actualizată ultima dată în 05-2022.