



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nexviadyme (*avalglukozidáza alfa*)

Prehľad o lieku Nexviadyme a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Nexviadyme a na čo sa používa?

Liek Nexviadyme je určený na enzýmovú substitučnú liečbu u pacientov s Pompeho chorobou, čo je zriedkavá dedičná porucha spôsobená nedostatkom enzýmu nazývaného alfa-glukozidáza. U pacientov s Pompeho chorobou dochádza k hromadeniu glykogénu (komplexných cukrov) v telesných tkanivách vrátane srdcového, pľúcneho a kostrového svalstva, čo spôsobuje zväčšenie srdca, problémy s dýchaním a svalovú slabosť.

Liek Nexviadyme obsahuje liečivo avalglukozidáza alfa.

Pompeho choroba je zriedkavé ochorenie, a preto bol liek Nexviadyme 26. marca 2014 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť tu: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141251.

Ako sa liek Nexviadyme používa?

Na liečbu liekom Nexviadyme má dohliadať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou pacientov s Pompeho chorobou alebo s inými dedičnými chorobami rovnakého druhu.

Liek Nexviadyme sa podáva formou infúzie (kvapkaním) do žily raz za dva týždne a dávka závisí od telesnej hmotnosti pacienta. Lekár môže rozhodnúť o zvýšení dávky u pacientov s infantilnou formou Pompeho choroby (Pompeho chorobou, ktorá sa vyskytuje v ranom veku), ktorých stav sa pri podávaní pravidelnej dávky nezlepšuje. Pacientom, u ktorých sa pri niekoľkých prvých infúziách nezaznamenajú žiadne vážnejšie vedľajšie účinky, možno bude možné podávať infúzie v domácom prostredí.

Viac informácií o používaní lieku Nexviadyme si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

Akým spôsobom liek Nexviadyme účinkuje?

Liečivo lieku Nexviadyme, avalglukozidáza alfa, je verzia enzýmu alfa-glukozidázy, ktorý chýba osobám s Pompeho chorobou. Alfa-glukozidáza rozkladá glykogén na glukózu, ktorú môžu telové bunky využívať ako energiu. Ak tento enzým nie je prítomný, glykogén sa hromadí v určitých tkanivách vrátane srdca a bránice (hlavného dýchacieho svalu pod pľúcami), čo spôsobuje ich poškodenie.



Nahradením chýbajúceho enzýmu avalglukozidáza alfa pomáha rozkladať glykogén a zabraňuje jeho hromadeniu a spôsobovaniu príznakov ochorenia.

Aké prínosy lieku Nexviadyme boli preukázané v štúdiách?

V jednej hlavnej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 100 pacientov vo veku od 16 do 78 rokov s Pompeho chorobou, sa preukázalo, že liek Nexviadyme je pri zlepšení funkcie pľúc prinajmenšom taký účinný ako ďalšia substitučná liečba indikovaná pre Pompeho chorobu (alglukozidáza alfa). Funkcia pľúc pacientov sa merala ako percentuálna zmena ich nútenej vitálnej kapacity (FVC, maximálny objem vzduchu, ktorý môže pacient po hlbokom nádychu prudko vydýchnuť).

V tejto štúdii sa u pacientov, ktorým sa podával liek Nexviadyme počas 49 týždňov, zaznamenalo zlepšenie funkcie pľúc o 2,9 % v porovnaní s pacientmi, ktorým sa podávala alglukozidáza alfa a u ktorých sa funkcia pľúc zvýšila o 0,5 %.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Nexviadyme?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Nexviadyme sú reakcie z precitlivenosti (alergické reakcie) a reakcie súvisiace s infúziou, ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu zo 4. Závažné alergické reakcie (anafylaxia) boli hlásené u menej ako 2 osôb zo 100. Ďalšie často hlásené vedľajšie účinky (až u 1 osoby z 10) sú svrbenie, vyrážka, bolesť hlavy, urtikária (svrbivá vyrážka), únava, nauzea (pocit nevoľnosti) a zimnica.

Zoznam všetkých vedľajších účinkov a obmedzení pozorovaných pri používaní lieku Nexviadyme sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Nexviadyme povolený v EÚ?

V hlavnej štúdii sa preukázalo, že liek Nexviadyme zlepšil funkciu pľúc u pacientov s Pompeho chorobou. Najčastejšie vedľajšie účinky sú alergické reakcie a reakcie na infúziu a sú porovnateľné s účinkami hlásenými u pacientov liečených podobnými liekmi.

Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Nexviadyme sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Nexviadyme?

Spoločnosť, ktorá liek Nexviadyme uvádza na trh, poskytne zdravotníckym pracovníkom vzdelávacie materiály vrátane usmernenia, ako monitorovať pacientov, pokiaľ ide o riziko vzniku infekcie, a ako zabezpečiť podávanie infúzií v domácom prostredí.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Nexviadyme boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Nexviadyme sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Nexviadyme sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Nexviadyme

Ďalšie informácie o lieku Nexviadyme sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nexviadyme.

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 05-2022