



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nexviadyme (*avalglukozidaza alfa*)

Pregled zdravila Nexviadyme in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Nexviadyme in za kaj se uporablja?

Nexviadyme je encimsko nadomestno zdravljenje, ki se uporablja za zdravljenje bolnikov s Pompejevo boleznijo, tj. redko dedno boleznijo, ki jo povzroča pomanjkanje encima, imenovanega alfa-glukozidaza. Pri bolnikih s Pompejevo boleznijo se glikogen (kompleksni sladkorji) kopiči v telesnih tkivih, vključno s srcem, pljuči in skeletnimi mišicami, kar povzroča povečanje srca, težave z dihanjem in oslabelost mišic.

Zdravilo Nexviadyme vsebuje učinkovino avalglukozidaza alfa.

Pompejeva bolezen je redka, zato je bilo zdravilo Nexviadyme 26. marca 2014 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije glede določitve zdravila sirote lahko najdete tukaj: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141251.

Kako se zdravilo Nexviadyme uporablja?

Zdravljenje z zdravilom Nexviadyme mora nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem bolnikov s Pompejevo boleznijo ali drugimi dednimi boleznimi iste vrste.

Zdravilo Nexviadyme se daje z infundiranjem (kapalno infuzijo) v veno enkrat na dva tedna, odmerki pa je odvisen od bolnikove telesne mase. Zdravnik se lahko odloči za povečanje odmerka pri bolnikih z zgodnjim nastopom Pompejeve bolezni (Pompejeve bolezni, ki se pojavi v zgodnjem otroštvu), pri katerih z običajnim odmerkom ne pride do izboljšanja. Bolniki, ki niso imeli večjih neželenih učinkov ob prvih nekaj infuzijah, si lahko zdravilo infundirajo doma.

Za več informacij glede uporabe zdravila Nexviadyme glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Nexviadyme deluje?

Učinkovina zdravila Nexviadyme, avalglukozidaza alfa, je različica encima alfa-glukozidaza, ki ga pri bolnikih s Pompejevo boleznijo primanjkuje. Alfa-glukozidaza razgrajuje glikogen v glukozo, ki ga celice telesa lahko uporabljajo za tvorjenje energije. Če encima primanjkuje, se glikogen kopiči v določenih tkivih, vključno s srcem in trebušno prepono (glavno dihalno mišico pod pljuči), ter v njih



povzroča poškodbe. Avalglukozidaza alfa z nadomeščanjem manjkajočega encima pomaga razgraditi glikogen in preprečiti njegovo kopičenje ter simptome bolezni.

Kakšne koristi zdravila Nexviadyme so se pokazale v študijah?

V eni glavni študiji, v katero je bilo vključenih 100 bolnikov z Pompejevo boleznijo, starih od 16 do 78 let, je bilo dokazano, da je zdravilo Nexviadyme pri izboljševanju delovanja pljuč enako učinkovito kot drugo zdravilo za zdravljenje Pompejeve bolezni z nadomeščanjem encima (alglukozidaza alfa). Delovanje pljuč pri bolnikih so merili kot odstotno spremembo njihove forsirane vitalne kapacitete (FVC, največji volumen izdihanega zraka v enem izdihu).

V študiji so bolniki, ki so 49 tednov prejeli zdravilo Nexviadyme, povečali delovanje pljuč za 2,9 %, medtem ko so bolniki, ki so prejeli alglukozidazo alfa, povečali delovanje pljuč za 0,5 %.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Nexviadyme?

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Nexviadyme so preobčutljivostne (alergijske) reakcije in reakcije, povezane z infundiranjem, ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 4 bolnikov. Pri manj kot 2 od 100 bolnikov so poročali o hudih alergijskih reakcijah (anafilaksiji). Drugi neželeni učinki, o katerih so pogosto poročali (pri največ 1 od 10 bolnikov), so zajemali srbenje, izpuščaje, glavobol, urtikarijo (srbeč izpuščaj), utrujenost, navzejo (siljenje na bruhanje) in mrzlico.

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Nexviadyme glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo Nexviadyme odobreno v EU?

Glavna študija je pokazala, da je zdravilo Nexviadyme izboljšalo delovanje pljuč pri bolnikih s Pompejevo boleznijo. Najpogostejši neželeni učinki so alergijske reakcije in reakcije, povezane z infundiranjem, ter so primerljivi s tistimi, o katerih so poročali pri bolnikih, zdravljenih s podobnimi zdravili.

Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Nexviadyme večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Nexviadyme?

Podjetje, ki trži zdravilo Nexviadyme, bo zagotovilo izobraževalno gradivo za zdravstvene delavce, vključno z navodili o tem, kako spremljati bolnike glede tveganja za okužbo in kako urediti infundiranje na domu.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Nexviadyme upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Nexviadyme stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Nexviadyme, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Nexviadyme

Nadaljnje informacije za zdravilo Nexviadyme so na voljo na spletni strani agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nexviadyme.

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 05-2022.