



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nexviadyme (*avalglukosidas alfa*)

Sammanfattning av Nexviadyme och varför det är godkänt inom EU

Vad är Nexviadyme och vad används det för?

Nexviadyme är en enzymsättningsbehandling som används för att behandla patienter med Pompes sjukdom, en sällsynt ärftlig sjukdom som orsakas av brist på ett enzym som kallas alfa-glukosidas. Patienter med Pompes sjukdom har en ansamling av glykogen (komplexa sockerarter) i kroppens vävnader, bland annat i hjärtat, lungorna och skelettmuskulaturen, vilket orsakar förstört hjärta, andningssvårigheter och muskelsvaghet.

Nexviadyme innehåller den aktiva substansen avalglukosidas alfa.

Pompes sjukdom är sällsynt och Nexviadyme klassificerades som läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 26 mars 2014. Mer information om klassificeringen som läkemedel finns här: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141251.

Hur används Nexviadyme?

Nexviadyme-behandlingen ska övervakas av läkare som har erfarenhet av att behandla patienter med Pompes sjukdom eller andra ärftliga sjukdomar av samma typ.

Nexviadyme ges som en infusion (dropp) i en ven en gång varannan vecka och dosen beror på patientens kroppsvikt. En läkare kan besluta att öka dosen för patienter med infantil debut av Pompes sjukdom (Pompes sjukdom som uppträder i tidig ålder) som inte förbättras med den vanliga dosen. Patienter som inte får några större biverkningar av de första infusionerna kan få sina infusioner hemma.

För mer information om hur du använder Nexviadyme, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Nexviadyme?

Den aktiva substansen i Nexviadyme, avalglukosidas alfa, är en version av enzymet alfa-glukosidas, som saknas hos personer med Pompes sjukdom. Alfa-glukosidas omvandlar glykogen till glukos, som kan användas som energikälla av kroppens celler. Om enzymet saknas ansamlas glykogen i vissa vävnader, bland annat hjärtat och diafragman (den viktigaste andningsmuskeln nedanför lungorna),



vilket gör att de skadas. Genom att ersätta det saknade enzymet bidrar avalglukosidas alfa till att bryta ner glykogen och hindra det från att ansamlas och orsaka sjukdomssymtomen.

Vilka fördelar med Nexviadyme har visats i studierna?

En huvudstudie som omfattade 100 patienter i åldern 16–78 år med Pompes sjukdom visade att Nexviadyme var minst lika effektivt när det gällde att förbättra lungfunktionen som en annan ersättningsbehandling för Pompes sjukdom (alglukosidas alfa). Patienternas lungfunktion mättes som den procentuella förändringen av deras forcerade vitalkapacitet (FVC, den maximala mängden utandad luft i ett andetag).

I studien ökade patienterna som fick Nexviadyme i 49 veckor sin lungfunktion med 2,9 procent, jämfört med patienterna som fick alglukosidas alfa, som ökade sin lungfunktion med 0,5 procent.

Vilka är riskerna med Nexviadyme?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Nexviadyme är (allergiska) överkänslighetsreaktioner och infusionsrelaterade reaktioner, som kan förekomma hos fler än 1 av 4 användare. Allvarliga allergiska reaktioner (anafylaxi) har rapporterats hos färre än 2 av 100 användare. Andra ofta rapporterade biverkningar (hos upp till 1 av 10 personer) är klåda, hudutslag, huvudvärk, urtikaria (nässelutslag), trötthet, illamående och frossa.

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Nexviadyme finns i bipacksedeln.

Varför är Nexviadyme godkänt i EU?

En huvudstudie visade att Nexviadyme förbättrade lungfunktionen hos patienter med Pompes sjukdom. De vanligaste biverkningarna är allergiska reaktioner och infusionsreaktioner och är jämförbara med dem som rapporterats hos patienter som behandlats med liknande läkemedel.

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Nexviadyme är större än riskerna och att Nexviadyme kan godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Nexviadyme?

Företaget som marknadsför Nexviadyme kommer att tillhandahålla utbildningsmaterial för hälso- och sjukvårdspersonal, inklusive vägledning om hur patienter ska övervakas med avseende på infektionsrisk och hur infusioner ska ges i hemmet.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Nexviadyme har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Nexviadyme kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Nexviadyme utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Nexviadyme

Mer information om Nexviadyme finns på EMA:s webbplats:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nexviadyme.

Denna sammanfattning uppdaterades senast 05-2022.