



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nexviadyme (*avalglucosidasa alfa*)

Información general sobre Nexviadyme y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Nexviadyme y para qué se utiliza?

Nexviadyme es una terapia de sustitución enzimática que se utiliza para tratar a los pacientes con la enfermedad de Pompe, un trastorno hereditario raro provocado por la falta de una enzima denominada alfa-glucosidasa. Los pacientes con la enfermedad de Pompe presentan una acumulación de glucógeno (azúcares complejos) en los tejidos corporales, incluidos el corazón, los pulmones y los músculos esqueléticos, lo que provoca un incremento del tamaño del corazón, dificultades respiratorias y debilidad muscular.

Nexviadyme contiene el principio activo avalglucosidasa alfa.

La enfermedad de Pompe es «rara», y Nexviadyme fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 26 de marzo de 2014. Puede encontrar más información acerca de la designación como medicamento huérfano en:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141251.

¿Cómo se usa Nexviadyme?

El tratamiento con Nexviadyme debe ser supervisado por un médico con experiencia en el tratamiento de pacientes con la enfermedad de Pompe u otras enfermedades hereditarias del mismo tipo.

Nexviadyme se administra mediante perfusión (goteo) en vena una vez cada dos semanas, y la dosis depende del peso corporal del paciente. Un médico puede optar por aumentar la dosis en pacientes con enfermedad de Pompe infantil (enfermedad de Pompe que aparece a una edad temprana) que no mejoran con la dosis habitual. Los pacientes que no presenten efectos adversos importantes con las primeras perfusiones pueden recibir sus perfusiones a domicilio.

Para más información sobre el uso de Nexviadyme, consulte el prospecto o póngase en contacto con su médico o farmacéutico.

¿Cómo actúa Nexviadyme?

El principio activo de Nexviadyme, la avalglucosidasa alfa, es una versión de la enzima alfa-glucosidasa, de la que carecen las personas con la enfermedad de Pompe. La alfa-glucosidasa

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



descompone el glucógeno en glucosa, que las células del organismo pueden utilizar como energía. Si la enzima no está presente, el glucógeno se acumula en determinados tejidos, como el corazón y el diafragma (el músculo respiratorio principal situado bajo los pulmones), provocándoles daños. Al sustituir la enzima que falta, la avalglucosidasa alfa ayuda a descomponer el glucógeno y evita que se acumule y cause los síntomas de la enfermedad.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Nexviadyme en los estudios realizados?

Un estudio principal en el que participaron 100 pacientes de entre 16 y 78 años con la enfermedad de Pompe demostró que Nexviadyme era al menos tan eficaz para mejorar la función pulmonar como otra terapia de sustitución para la enfermedad de Pompe (la alglucosidasa alfa). La función pulmonar de los pacientes se midió como el cambio porcentual en su capacidad vital forzada (CVF, la cantidad máxima de aire exhalado con fuerza en una respiración).

En el estudio, los pacientes que recibieron Nexviadyme durante 49 semanas incrementaron su función pulmonar en un 2,9 % en comparación con los pacientes que recibieron alglucosidasa alfa, cuya función pulmonar aumentó un 0,5 %.

¿Cuál es el riesgo asociado a Nexviadyme?

Los efectos adversos más frecuentes de Nexviadyme son reacciones de hipersensibilidad (alérgicas) y reacciones asociadas a la perfusión, que pueden afectar a más de 1 de cada 4 personas; se han notificado reacciones alérgicas graves (anafilaxia) en menos de 2 de cada 100 personas. Otros efectos adversos notificados con frecuencia (en hasta 1 de cada 10 personas) son picor, erupción cutánea, dolor de cabeza, urticaria (erupción con picor), cansancio, náuseas (ganas de vomitar) y escalofríos.

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Nexviadyme se puede consultar en el prospecto.

¿Por qué se ha autorizado Nexviadyme en la UE?

Un estudio principal demostró que Nexviadyme mejoraba la función pulmonar de los pacientes con la enfermedad de Pompe. Los efectos adversos más frecuentes son reacciones alérgicas y reacciones a la perfusión y son comparables a los notificados en pacientes tratados con medicamentos similares.

La Agencia Europea de Medicamentos ha decidido, en consecuencia, que los beneficios de Nexviadyme son mayores que sus riesgos y ha recomendado autorizar su uso en la UE.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Nexviadyme?

La compañía que comercializa Nexviadyme proporcionará material educativo a los profesionales sanitarios que incluirá orientaciones sobre cómo controlar el riesgo de infección en los pacientes y cómo organizar las perfusiones a domicilio.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Nexviadyme se han incluido también en la ficha técnica o resumen de las características del producto y en el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Nexviadyme se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados con Nexviadyme se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otras informaciones sobre Nexviadyme

Puede encontrar información adicional sobre Nexviadyme en la página web de la Agencia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nexviadyme.

Fecha de la última actualización de este resumen: 05-2022.