



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/329151/2022
EMA/H/C/004850

Xenpozyme (*olipudasa alfa*)

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

¿Qué es Xenpozyme y para qué se utiliza?

Xenpozyme es un medicamento indicado para el tratamiento de pacientes con déficit de esfingomielinasa ácida (ASMD), una enfermedad genética conocida históricamente como enfermedad de Niemann-Pick de tipo A, A/B y B. Existen tres tipos de enfermedad de Niemann-Pick (A, B y C), con diferentes causas genéticas y diferentes síntomas. Xenpozyme se utiliza para el tratamiento de pacientes con tipos A/B o tipo B. Está destinado al tratamiento de los síntomas de la ASMD que no están relacionados con el cerebro.

La enfermedad de Niemann-Pick es «rara», y Xenpozyme fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 5 de diciembre de 2016. Puede encontrar más información acerca de la designación como medicamento huérfano en:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-01-056.

Xenpozyme contiene el principio activo olipudasa alfa.

¿Cómo se usa Xenpozyme?

Xenpozyme solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento deberá ser supervisado por un profesional sanitario con experiencia en el tratamiento de la ASMD u otros trastornos metabólicos hereditarios. Xenpozyme debe ser administrado por un profesional sanitario con acceso a la asistencia médica adecuada para tratar posibles reacciones graves, como reacciones de hipersensibilidad (alérgicas), que afecten a todo el organismo (véase la sección sobre riesgos más adelante).

Xenpozyme se administra mediante perfusión (goteo) en vena cada dos semanas. La dosis recomendada depende del peso del paciente. El tratamiento comienza con una dosis baja que se aumenta gradualmente hasta alcanzar la dosis recomendada, normalmente al cabo de 14 a 16 semanas. Dependiendo de la dosis, la duración de la perfusión oscila entre 18 y 220 minutos (casi 3,7 horas).

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

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



¿Cómo actúa Xenpozyme?

Debido a una mutación genética, los pacientes con ASMD de tipo A, A/B y B carecen de una enzima funcional, la esfingomielinasa ácida, que se encuentra en los lisosomas (partes de las células del organismo que descomponen los nutrientes y otros materiales) y es necesaria para descomponer ciertas grasas. La acumulación resultante de las grasas altera el funcionamiento de las células y provoca su muerte, lo que afecta al funcionamiento normal de tejidos y órganos, incluidos el hígado, el bazo, los pulmones, el corazón y el cerebro.

El principio activo de Xenpozyme, la olipudasa alfa, es una copia de la enzima de esfingomielinasa ácida normal. Se espera que sustituya a la enzima defectuosa del paciente y, de este modo, reduzca la acumulación de grasas dentro de los lisosomas y alivie algunos de los síntomas de la enfermedad. Sin embargo, no se espera que mejore los síntomas que afectan al cerebro, ya que el medicamento no puede cruzar la barrera hematoencefálica que separa la sangre del tejido cerebral.

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

Se demostró que Xenpozyme mejora la función pulmonar y reduce el volumen del bazo, tanto en adultos como en niños.

En un estudio principal realizado en 36 adultos con ASMD de tipo B o de tipo A/B, la mejora de la función pulmonar se midió examinando el cambio en la capacidad de difusión de los pulmones en relación con el monóxido de carbono (DLco), un tipo de gas utilizado en pequeñas cantidades para medir la cantidad de oxígeno que viaja de los pulmones a la sangre. Al cabo de un año de tratamiento, el aumento de DLco fue mayor en el grupo de pacientes que recibieron Xenpozyme (aumento medio del 22 %) en comparación con el grupo que recibió placebo, un tratamiento ficticio (aumento medio del 3 %). Teniendo en cuenta otras afecciones relacionadas con los pulmones, un aumento superior al 15 % se considera una mejora significativa.

Además, al cabo de un año de tratamiento, el volumen del bazo en los pacientes que recibieron Xenpozyme disminuyó por término medio un 39 %, mientras que aumentó un 0,5 % por término medio en los pacientes que recibieron placebo. Sobre la base de la enfermedad de Gaucher (otra enfermedad genética en la que las grasas se acumulan en el bazo y otros órganos), se considera clínicamente significativa una reducción superior al 30 % del volumen del bazo.

Se realizó un segundo estudio principal en 20 pacientes menores de 18 años (4 adolescentes, 9 niños, 7 lactantes/niños de corta edad) que recibieron Xenpozyme. El medicamento parecía funcionar de la misma forma y tener los mismos efectos en niños y adultos. También se observaron mejorías en la función pulmonar y el volumen del bazo, con un aumento medio del DLco del 33 % y una reducción del volumen del bazo del 49 % al cabo de un año de tratamiento.

¿Cuál es el riesgo asociado a Xenpozyme?

Los efectos adversos más frecuentes de Xenpozyme (que pueden afectar a más de 1 de cada 10 personas) son dolor de cabeza, fiebre, picor, urticaria (erupción con picor), náuseas, vómitos, dolor abdominal, dolor muscular y aumento de la concentración sanguínea de la proteína C reactiva (un marcador de la inflamación). En los ensayos clínicos, se produjeron reacciones asociadas a la perfusión, incluida hipersensibilidad (reacciones alérgicas), en más de 1 de cada 2 adultos y en alrededor de 2 de cada 3 niños.

Los efectos adversos graves notificados durante los ensayos clínicos son acontecimientos de extrasístoles (latidos cardíacos adicionales que interrumpen el ritmo cardíaco normal) en un paciente

que ya había sufrido daños en el músculo cardíaco. Se notificaron reacciones anafilácticas (reacción alérgica súbita grave) y casos graves de urticaria, erupción cutánea, hipersensibilidad y aumento de los niveles sanguíneos de alanina aminotransferasa (una enzima hepática) en niños. Las reacciones graves de hipersensibilidad relacionadas con la perfusión fueron más frecuentes en niños que en adultos.

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

¿Por qué se ha autorizado Xenpozyme en la UE?

Las opciones de tratamiento para los pacientes con ASMD son muy limitadas. Se ha demostrado que Xenpozyme proporciona beneficios clínicamente significativos a los pacientes con ASMD de tipo B o de tipo A/B, mejorando la función pulmonar y reduciendo el volumen del bazo. En términos de seguridad, los efectos adversos de Xenpozyme son generalmente de leves a moderados. Pueden producirse efectos adversos más graves, en particular reacciones alérgicas graves, pero se consideran controlables con las medidas de minimización de riesgos vigentes. La Agencia Europea de Medicamentos ha decidido que los beneficios de Xenpozyme 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 Xenpozyme?

Se pide a la empresa que comercializa Xenpozyme que distribuya materiales educativos a los profesionales sanitarios, los pacientes o los cuidadores para ayudar a controlar el riesgo de efectos adversos graves, especialmente reacciones alérgicas graves relacionadas con la perfusión. Estos incluyen información sobre los signos y síntomas a los que hay que prestar atención y las medidas recomendadas en caso de que se produzcan efectos adversos.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Xenpozyme 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 Xenpozyme se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados con Xenpozyme se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otras informaciones sobre Xenpozyme

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