



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nexviadyme (*avalglucosidase alfa*)

Aperçu de Nexviadyme et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce que Nexviadyme et dans quel cas est-il utilisé?

Nexviadyme est un traitement enzymatique substitutif indiqué chez les patients atteints de la maladie de Pompe, un trouble héréditaire rare dû à l'absence d'une enzyme appelée alpha-glucosidase. Les patients atteints de la maladie de Pompe présentent une accumulation de glycogène (sucres complexes) dans les tissus du corps, y compris le cœur, les poumons et les muscles squelettiques, ce qui provoque une augmentation de la taille du cœur, des difficultés respiratoires et une faiblesse musculaire.

Nexviadyme contient la substance active avalglucosidase alfa.

La maladie de Pompe est rare et Nexviadyme a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 26 mars 2014. De plus amples informations sur les désignations de médicaments orphelins peuvent être trouvées ci-après : ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141251.

Comment Nexviadyme est-il utilisé?

Le traitement par Nexviadyme doit être supervisé par un médecin expérimenté dans la prise en charge des patients atteints de la maladie de Pompe ou d'autres maladies héréditaires du même type.

Nexviadyme est administré par perfusion (goutte-à-goutte) dans une veine une fois toutes les deux semaines, et la dose dépend du poids corporel du patient. Un médecin peut décider d'augmenter la dose chez les patients atteints de la forme infantile de la maladie de Pompe (maladie de Pompe qui apparaît à un âge précoce) et dont l'état ne s'améliore pas avec la dose normale. Les patients qui ne présentent pas d'effets indésirables majeurs à la suite des premières perfusions peuvent se les faire administrer à domicile.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Nexviadyme, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.

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



Comment Nexviadyme agit-il?

La substance active de Nexviadyme, l'avalglucosidase alfa, est une version de l'enzyme alpha-glucosidase, qui est manquante chez les personnes atteintes de la maladie de Pompe. L'alpha-glucosidase décompose le glycogène en glucose, lequel peut être utilisé à des fins énergétiques par les cellules de l'organisme. En l'absence de cette enzyme, le glycogène s'accumule dans certains tissus, y compris le cœur et le diaphragme (le principal muscle respiratoire situé sous les poumons), ce qui provoque des lésions au niveau de ces tissus. En remplaçant l'enzyme manquante, l'avalglucosidase alfa contribue à dégrader le glycogène et à l'empêcher de s'accumuler et de provoquer les symptômes de la maladie.

Quels sont les bénéfices de Nexviadyme démontrés au cours des études?

Une étude principale portant sur 100 patients âgés de 16 à 78 ans atteints de la maladie de Pompe a montré que Nexviadyme était au moins aussi efficace pour améliorer la fonction pulmonaire qu'un autre traitement substitutif de la maladie de Pompe (alglucosidase alfa). La fonction pulmonaire des patients a été mesurée comme étant la variation du pourcentage de leur capacité vitale forcée (CVF, la quantité maximale d'air expirée avec force en une respiration).

Dans l'étude, les patients ayant reçu Nexviadyme pendant 49 semaines ont vu leur fonction pulmonaire augmenter de 2,9 % par rapport aux patients ayant reçu de l'alglucosidase alfa, lesquels ont vu leur fonction pulmonaire augmenter de 0,5 %.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Nexviadyme?

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Nexviadyme sont les réactions d'hypersensibilité (allergiques) et les réactions associées à la perfusion, qui peuvent toucher plus d'une personne sur quatre; des réactions allergiques graves (anaphylaxie) ont été signalées chez moins de deux personnes sur 100. D'autres effets indésirables fréquemment rapportés (chez jusqu'à une personne sur 10) sont les démangeaisons, les éruptions cutanées, les maux de tête, l'urticaire (éruption cutanée avec démangeaisons), la fatigue, les nausées (envie de vomir) et les frissons.

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Nexviadyme, voir la notice.

Pourquoi Nexviadyme est-il autorisé dans l'UE?

Une étude principale a montré que Nexviadyme permettait d'améliorer la fonction pulmonaire des patients atteints de la maladie de Pompe. Les effets indésirables les plus couramment observés sont des réactions allergiques et des réactions liées à la perfusion; ils sont comparables à ceux rapportés chez des patients traités par des médicaments similaires.

Par conséquent, l'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Nexviadyme sont supérieurs à ses risques et a autorisé l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Nexviadyme?

La société qui commercialise Nexviadyme fournira du matériel éducatif aux professionnels de santé, y compris des conseils sur la manière de surveiller les patients en ce qui concerne le risque d'infection et d'organiser des perfusions à domicile.

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Nexviadyme ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Nexviadyme sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés avec Nexviadyme sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Nexviadyme:

Des informations sur Nexviadyme sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nexviadyme.

Dernière mise à jour du présent aperçu: 05-2022.