



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Nexviadyme (*avalglucosidase alfa*)

Een overzicht van Nexviadyme en waarom het is geregistreerd in de EU

### Wat is Nexviadyme en wanneer wordt het voorgeschreven?

Nexviadyme is een enzymvervangende therapie die wordt gebruikt voor de behandeling van patiënten met de ziekte van Pompe, een zeldzame erfelijke aandoening die wordt veroorzaakt door het ontbreken van een enzym genaamd alfa-glucosidase. Bij patiënten met de ziekte van Pompe is er sprake van een ophoping van glycogeen (complexe suikers) in lichaamswefsels, waaronder het hart, de longen en de skeletspieren, wat een vergroot hart, ademhalingsproblemen en spierzwakte veroorzaakt.

Nexviadyme bevat de werkzame stof avalglucosidase alfa.

De ziekte van Pompe is zeldzaam, en Nexviadyme werd op 26 maart 2014 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel kan hier worden gevonden:

[ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141251](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141251).

### Hoe wordt Nexviadyme gebruikt?

Een behandeling met Nexviadyme moet onder toezicht staan van een arts die ervaring heeft met de behandeling van patiënten met de ziekte van Pompe of andere erfelijke ziekten van hetzelfde type.

Nexviadyme wordt eenmaal per twee weken toegediend via infusie (indruppeling) in een ader, in een dosering die afhankelijk is van het lichaamsgewicht van de patiënt. Een arts kan besluiten de dosis te verhogen voor patiënten met de infantiele ziekte van Pompe (de ziekte van Pompe op jonge leeftijd) bij wie zich geen verbetering voordoet met de normale dosis. Bij patiënten die bij de eerste infusies geen ernstige bijwerkingen ondervinden, kunnen de infusies thuis worden toegediend.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Nexviadyme.

### Hoe werkt Nexviadyme?

De werkzame stof in Nexviadyme, avalglucosidase alfa, is een versie van het enzym alfa-glucosidase, dat bij mensen met de ziekte van Pompe ontbreekt. Alfa-glucosidase breekt glycogeen af tot glucose, die door de lichaamscellen kan worden gebruikt voor het opwekken van energie. Als het enzym

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



ontbreekt, hoopt glycogeen zich op in bepaalde weefsels, waaronder het hart en het diafragma (de belangrijkste ademhalingspier onder de longen), waardoor deze worden beschadigd. Door het ontbrekende enzym te vervangen helpt avalglucosidase alfa glycogeen af te breken, waardoor de ophoping ervan in het lichaam en het ontstaan van de symptomen van de aandoening worden voorkomen.

## **Welke voordelen bleek Nexviadyme tijdens de studies te hebben?**

Uit één hoofdstudie onder 100 patiënten tussen 16 en 78 jaar oud met de ziekte van Pompe bleek dat Nexviadyme minstens even werkzaam was bij het verbeteren van de longfunctie als een andere vervangingstherapie voor de ziekte van Pompe (alglucosidase alfa). De longfunctie van de patiënten werd gemeten als de procentuele verandering in hun geforceerde vitale capaciteit (FVC, de maximale hoeveelheid lucht die de patiënt met kracht in één adem kan uitademen).

In de studie nam de longfunctie bij patiënten die gedurende 49 weken Nexviadyme toegediend kregen met 2,9 % toe, vergeleken met 0,5 % bij patiënten die alglucosidase alfa kregen.

## **Welke risico's houdt het gebruik van Nexviadyme in?**

De meest voorkomende bijwerkingen van Nexviadyme zijn overgevoeligheidsreacties (allergische reacties) en infusiegerelateerde reacties, die bij meer dan 1 op de 4 personen kunnen optreden; ernstige allergische reacties (anafylaxie) zijn gemeld bij minder dan 2 op de 100 personen. Andere vaak gemelde bijwerkingen (bij maximaal 1 op de 10 personen) zijn jeuk, huiduitslag, hoofdpijn, urticaria (jeukende huiduitslag), vermoeidheid, misselijkheid en koude rillingen.

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Nexviadyme.

## **Waarom is Nexviadyme geregistreerd in de EU?**

Uit een hoofdstudie bleek dat Nexviadyme de longfunctie van patiënten met de ziekte van Pompe verbeterde. De meest voorkomende bijwerkingen zijn allergische reacties en infusiereacties en zijn vergelijkbaar met de bijwerkingen die werden gemeld bij patiënten die met vergelijkbare geneesmiddelen werden behandeld.

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft daarom geconcludeerd dat de voordelen van Nexviadyme groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

## **Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Nexviadyme te waarborgen?**

Het bedrijf dat Nexviadyme op de markt brengt, zal professionele zorgverleners voorzien van voorlichtingsmateriaal met richtsnoeren voor het controleren van patiënten op het risico op infectie en het regelen van infusies thuis.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Nexviadyme, zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Nexviadyme continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Nexviadyme worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

## Overige informatie over Nexviadyme

Meer informatie over Nexviadyme is te vinden op de website van het Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nexviadyme](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nexviadyme).

Dit overzicht is voor het laatst bijgewerkt in 05-2022.