

Public Summary SwissPAR du 18.02.2022

Nexviadyme[®] (principe actif : avalglucosidase alfa)

Première autorisation en Suisse : 17.11.2021

Médicament destiné au traitement de la maladie de Pompe d'apparition tardive

Remarques concernant l'autorisation

Nexviadyme est un médicament dont le principe actif est l'avalglucosidase alfa. Il est utilisé en tant que traitement enzymatique substitutif¹ en cas de maladie de Pompe.

La maladie de Pompe est une maladie rare faisant partie des glycoséoses, aussi nommées « maladies de stockage du glycogène »². Cette maladie se caractérise par un déficit héréditaire en α -glucosidase lysosomale, enzyme également appelée maltase acide, qui est nécessaire à la dégradation du glycogène dans les cellules musculaires. Ce déficit enzymatique se traduit par une accumulation de glycogène dans les cellules musculaires qui sont ainsi progressivement endommagées chez les patients touchés. Selon la forme de la maladie, des symptômes de cette altération des muscles peuvent déjà être constatés chez le nourrisson (faiblesse du muscle cardiaque, faiblesse à la marche ou faiblesse respiratoire, par exemple) ou n'apparaître que pendant l'enfance ou

l'adolescence, voire à l'âge adulte. C'est pourquoi on distingue la forme précoce et la forme tardive de la maladie.

Nexviadyme a été autorisé dans le cadre de l'initiative collaborative du Consortium Access. Il s'agit d'une collaboration entre les autorités de contrôle des médicaments d'Australie (Therapeutic Goods Administration, TGA), du Canada (Santé Canada, SC), de Singapour (Health Sciences Authority, HSA), du Royaume-Uni (Medicines Health Regulatory Agency, MHRA) et de Suisse (Swissmedic), d'une part, et l'industrie pharmaceutique, d'autre part. L'initiative collaborative implique une coordination de l'examen des demandes d'autorisation de médicaments contenant de nouveaux principes actifs qui ont été déposées dans au moins deux des cinq pays du consortium.

Une demande d'autorisation de Nexviadyme a été déposée auprès des autorités de con-

¹ Les enzymes sont des protéines qui, en tant que biocatalyseurs, contrôlent et accélèrent des réactions biochimiques dans l'organisme.

² Glycogène : le glycogène est une réserve énergétique à l'intérieur des cellules, en particulier dans les cellules hépatiques et musculaires humaines.

trôle des médicaments en Australie, au Canada et en Suisse. Chaque pays a examiné une partie de la demande, puis les résultats ont été échangés et discutés. Chaque autorité a finalement décidé de l'autorisation de mise sur le marché du médicament de manière souveraine.

La décision d'autorisation de Swissmedic intègre l'évaluation des autorités étrangères de référence, qui a été reprise en ce qui concerne la maladie de Pompe d'apparition tardive. C'est pourquoi Swissmedic n'établit pas de Swiss Public Assessment Report (SwissPAR) complet et n'est ainsi pas non plus en mesure de publier un Public Summary SwissPAR exhaustif. Swissmedic renvoie donc aux publications des autorités impliquées :

- aperçu du processus d'évaluation de l'autorité australienne (TGA) : [Australian prescription medicine decision summary](#) ;
- résumé de la décision d'autorisation de l'autorité canadienne (Santé Canada) : sommaire de décision réglementaire – Santé Canada.

Des informations complémentaires sur l'initiative collaborative du Consortium Access sont disponibles sur le site Internet de Swissmedic : [Consortium Access \(swissmedic.ch\)](#).

Cette maladie étant une maladie rare et mettant en jeu le pronostic vital, le médicament a été autorisé en tant que médicament orphelin (*Orphan Drug*). Les médicaments orphelins sont des médicaments importants contre des maladies rares.

Justification de la décision d'autorisation

Au vu des données disponibles et lorsque tous les risques et l'ensemble des mesures de précaution à respecter sont pris en considération, les bénéfices offerts par Nexviadyme sont supérieurs aux risques. Swissmedic a

donc autorisé le médicament Nexviadyme, dont le principe actif est l'avalglucosidase alfa, pour le traitement de la maladie de Pompe d'apparition tardive.

Informations complémentaires sur le médicament

Information pour les personnes exerçant une profession médicale : [information professionnelle de Nexviadyme®](#)

Les professionnels de santé sont là pour répondre à toute autre question.

Les présentes informations sont basées sur les informations disponibles à la date de publication du SwissPAR. Les nouvelles connaissances concernant le médicament autorisé ne sont pas intégrées dans le Public Summary SwissPAR.

Les médicaments autorisés en Suisse sont sous la surveillance de Swissmedic. Swissmedic prendra les mesures qui s'imposent en cas de constatation de nouveaux effets indésirables ou en présence d'autres signaux de sécurité. De plus, Swissmedic recensera et publiera toute nouvelle connaissance susceptible d'avoir un impact sur la qualité, l'action ou la sécurité d'emploi de ce médicament. Au besoin, l'information sur le médicament sera adaptée.