

Public Summary SwissPAR del 18.02.2022

Nexviadyme[®] (principio attivo: avalglucosidasi alfa)

Prima omologazione in Svizzera: 17.11.2021

Medicamento per il trattamento della malattia di Pompe a esordio tardivo

Indicazioni per l'omologazione

Il medicamento Nexviadyme contiene il principio attivo avalglucosidasi alfa ed è indicato per il trattamento enzimatico sostitutivo¹ in pazienti affetti da malattia di Pompe.

La malattia di Pompe è una malattia rara che appartiene alle glicogenosi, malattie caratterizzate dall'accumulo di glicogeno². È causata da una carenza ereditaria dell'enzima lisosomiale « α -glucosidasi acida» o «maltasi acida» necessario per la degradazione del glicogeno nelle cellule muscolari. A causa di questo deficit, il glicogeno si accumula nelle cellule muscolari dei pazienti affetti, danneggiandole progressivamente. A seconda della forma, i sintomi di questi danni muscolari (p.es. indebolimento del muscolo cardiaco, rallentamento della deambulazione, insufficienza respiratoria) possono manifestarsi già in età neonatale o anche in età infantile/adolescenziale oppure adulta. Di conseguenza, viene fatta una distinzione tra una forma infantile e una forma a esordio tardivo della malattia.

Nexviadyme è stato omologato nell'ambito dell'iniziativa collaborativa dell'Access Consortium, una collaborazione tra le autorità di controllo dei medicinali di Australia (Therapeutic Goods Administration, TGA), Canada (Health Canada, HC), Singapore (Health Sciences Authority, HSA), Regno Unito (Medicines and Healthcare products Regulatory Agency, MHRA), Swissmedic e l'industria farmaceutica. L'iniziativa collaborativa coordina la valutazione delle omologazioni con nuovi principi attivi che vengono presentate in almeno due dei cinque Paesi.

L'esame della domanda di omologazione per Nexviadyme è stato richiesto alle autorità di controllo dei medicinali di Australia, Canada e Svizzera. Ogni Paese ha valutato una parte della domanda e ha poi discusso e scambiato i risultati con gli altri Paesi. Alla fine, ciascuna autorità ha deciso autonomamente in merito all'omologazione.

¹ Gli enzimi sono proteine che, come biocatalizzatori, controllano e accelerano le reazioni biochimiche nell'organismo.

² Glicogeno: funge da riserva energetica ed è presente nelle cellule, soprattutto in quelle del fegato e dei muscoli dell'essere umano.

Nella sua decisione per l'omologazione, Swissmedic ha tenuto conto della valutazione delle autorità di riferimento estere e l'ha ripresa per quanto concerne la malattia di Pompe a esordio tardivo. Di conseguenza, Swissmedic non redige un SwissPAR completo (Swiss Public Assessment Report) e per questo motivo non può creare neppure un Public Summary SwissPAR completo. Swissmedic rimanda pertanto alle pubblicazioni delle autorità coinvolte:

- Panoramica del processo di valutazione dell'autorità australiana TGA: [Australien prescription medicine decision summary](#)

- Riassunto della decisione di omologazione dell'autorità canadese Health Canada: [Regulatory Decision Summary - Health Canada](#)

Maggiori informazioni sull'iniziativa collaborativa dell'Access Consortium sono disponibili sul sito web di Swissmedic: [Access Consortium \(swissmedic.ch\)](#).

Poiché si tratta di una malattia rara potenzialmente letale, il medicamento è stato omologato come «medicamento orfano». Sono definiti «orfani» i medicinali importanti per malattie rare.

Motivazione della decisione di omologazione

Tenendo conto di tutti i rischi e delle misure precauzionali e sulla base dei dati disponibili, i benefici di Nexviadyme superano i ri-

schi. Swissmedic ha quindi omologato il medicamento Nexviadyme con il principio attivo avalglucosidasi alfa per il trattamento della malattia di Pompe a esordio tardivo.

Maggiori informazioni sul medicamento

Informazione per gli operatori sanitari: [Informazione professionale di Nexviadyme®](#)

Per altre domande, rivolgersi ai professionisti della salute.

Lo stato di questa informazione corrisponde a quello dello SwissPAR. Le nuove conoscenze acquisite sul medicamento omologato non sono incluse nel Public Summary SwissPAR.

I medicinali omologati in Svizzera sono monitorati da Swissmedic. In caso di nuovi effetti indesiderati riscontrati o di altri segnali rilevanti per la sicurezza, Swissmedic adotterà le misure necessarie. Swissmedic si occuperà di registrare e pubblicare qualsiasi nuova conoscenza acquisita concernente aspetti che potrebbero compromettere la qualità, l'effetto o la sicurezza di questo medicamento. Se necessario, l'informazione sul medicamento sarà modificata.