

Public Summary SwissPAR vom 18.02.2022

## Nexviadyme® (Wirkstoff: Avalglucosidase alfa)

Erstzulassung in der Schweiz: 17.11.2021

Arzneimittel zur Behandlung der Pompe'schen Krankheit (Morbus Pompe) mit später Verlaufsform

### Hinweise zur Zulassung

Das Arzneimittel Nexviadyme enthält den Wirkstoff Avalglucosidase alfa. Es wird zur Enzym-Ersatztherapie<sup>1</sup> bei Morbus Pompe eingesetzt.

Morbus Pompe ist eine seltene Erkrankung, die zu den Glykogenspeicherkrankheiten<sup>2</sup> gehört. Sie ist gekennzeichnet durch einen erblich bedingten Mangel am Enzym an «lysosomaler  $\alpha$ -Glucosidase» oder «saurer Maltase», welches für den Abbau von Glykogen in den Muskelzellen benötigt wird. Auf Grund des Enzymmangels häuft sich bei den betroffenen Patientinnen und Patienten Glykogen in den Muskelzellen an, was zu einer fortschreitenden Schädigung dieser Zellen führt. Je nach Verlaufsform können sich Symptome dieser Muskelschädigung (beispielsweise Herzmuskelschwäche, Gehschwäche, Atemschwäche) bereits im Säuglings- oder auch erst im Kinder-/Jugend- oder Erwachsenenalter bemerkbar machen. Demnach unterscheidet man eine frühe und späte Verlaufsform der Erkrankung.

Nexviadyme wurde im Rahmen der Gemeinschaftsinitiative des Access Consortiums zugelassen. Bei der Gemeinschaftsinitiative handelt es sich um eine Zusammenarbeit zwischen den Arzneimittelbehörden aus Australien (Therapeutic Goods Administration, TGA), Kanada (Health Canada, HC), Singapur (Health Sciences Authority, HSA), dem Vereinigten Königreich (Medicines & Healthcare products Regulatory Agency (MHRA) sowie Swissmedic und der pharmazeutischen Industrie. Die Gemeinschaftsinitiative koordiniert die Begutachtung von Zulassungen mit neuen Wirkstoffen, welche in mindestens zwei der fünf Ländern eingereicht werden.

Das Zulassungsgesuch für Nexviadyme wurde bei den Arzneimittelbehörden von Australien, Kanada und der Schweiz beantragt. Jedes Land hat einen Teil des Gesuchs beurteilt und die Resultate anschliessend ausgetauscht und diskutiert. Am Ende hat jede Behörde unabhängig über die Zulassung entschieden.

<sup>1</sup> Enzyme sind Eiweisse (Proteine), die als Biokatalysator biochemische Reaktionen im Organismus steuern und beschleunigen.

<sup>2</sup> Glykogen: Glykogen ist ein Energiespeicher in den Zellen, vor allem in Leber- und Muskelzellen des Menschen.

In ihren Entscheid für eine Zulassung hat Swissmedic die Beurteilung der ausländischen Referenzbehörden miteinbezogen und betreffend Morbus Pompe mit später Verlaufsform übernommen. Somit erstellt Swissmedic keinen vollständigen SwissPAR (Swiss Public Assessment Report) und kann aus diesem Grund keinen vollständigen Public Summary SwissPAR erstellen. Swissmedic verweist folglich auf die Publikationen der beteiligten Behörden:

- Überblick über den Evaluierungsprozess der australischen Behörde TGA: [Australien prescription medicine decision summary](#)

- Zusammenfassung des Zulassungsentscheids der kanadischen Behörde Health Canada: [Regulatory Decision Summary - Health Canada](#)

Mehr Informationen zur Gemeinschaftsinitiative Access sind auf der Homepage von Swissmedic publiziert: [Access Consortium \(swissmedic.ch\)](#).

Da es sich bei dieser Krankheit um eine seltene und lebensbedrohende Krankheit handelt, wurde das Arzneimittel als «Orphan Drug» zugelassen. Mit «Orphan Drug» werden wichtige Arzneimittel für seltene Krankheiten bezeichnet

---

## Begründung des Zulassungsentscheids

---

Unter Berücksichtigung aller Risiken und Vorsichtsmassnahmen und aufgrund der vorliegenden Daten überwiegen die Vorteile von Nexviadyme die Risiken. Swissmedic hat daher das Arzneimittel Nexviadyme

mit dem Wirkstoff Avalglucosidase alfa zur Behandlung des Morbus Pompe mit später Verlaufsform zugelassen.

---

## Weitere Informationen zum Arzneimittel

---

Information für medizinisches Fachpersonal: [Fachinformation Nexviadyme®](#)

Weitere Fragen beantworten Gesundheitsfachpersonen.

Der Stand dieser Information entspricht demjenigen des SwissPAR. Neue Erkenntnisse über das zugelassene Arzneimittel fliessen nicht in den Public Summary SwissPAR ein.

In der Schweiz zugelassene Arzneimittel werden von Swissmedic überwacht. Bei neu festgestellten unerwünschten Arzneimittelwirkungen oder anderen sicherheitsrelevanten Signalen leitet Swissmedic die notwendigen Massnahmen ein. Neue Erkenntnisse, welche die Qualität, die Wirkung oder die Sicherheit dieses Medikaments beeinträchtigen könnten, werden von Swissmedic erfasst und publiziert. Bei Bedarf wird die Arzneimittelinformation angepasst.