

**Резюме плану управління ризиками для лікарського засобу
НЕКСВІАДИМ (авальглюкозидаза альфа),
порошок для приготування концентрату для розчину для інфузій, по 100 мг**

Це резюме плану управління ризиками (ПУР) для лікарського засобу НЕКСВІАДИМ. ПУР детально описує важливі ризики, що виникають при застосуванні лікарського засобу НЕКСВІАДИМ, варіанти мінімізації цих ризиків і варіанти отримання більшої кількості інформації про ризики, а також відсутня інформація, пов'язані із застосуванням лікарського засобу НЕКСВІАДИМ.

Інструкція для медичного застосування ЛЗ (ІМЗЛЗ) містить важливу інформацію для медичних працівників та пацієнтів про те, як слід застосовувати лікарський засіб НЕКСВІАДИМ.

Це резюме ПУР для лікарського засобу НЕКСВІАДИМ потрібно розглядати в контексті всієї цієї інформації, включно зі звітом про оцінку та його коротким викладом зрозумілою мовою, що є частиною Європейського публічного звіту з оцінки лікарських засобів (EPAR).

Важливі нові проблеми безпеки або зміни в поточних будуть включені до оновленого ПУР для лікарського засобу НЕКСВІАДИМ.

I. ЛІКАРСЬКИЙ ЗАСІБ І ПОКАЗАННЯ ДО ЗАСТОСУВАННЯ

Лікарський засіб НЕКСВІАДИМ призначений для тривалої ферментозамісної терапії для лікування пацієнтів з хворобою Помпе (дефіцит кислотої α -глюкозидази).

Як діючу речовину він містить авальглюкозидазу альфа та вводиться шляхом внутрішньовенної інфузії.

Додаткову інформацію про оцінку переваг застосування лікарського засобу НЕКСВІАДИМ можна знайти у відповідному EPAR, у тому числі його короткий виклад зрозумілою мовою, доступний на вебсайті Європейської агенції лікарських засобів (EMA), на веб-сторінці «лікарські засоби»: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/nexviadyme>.

II. РИЗИКИ, ПОВ'ЯЗАНІ ІЗ ЗАСТОСУВАННЯМ ЛІКАРСЬКОГО ЗАСОБУ, І ЗАХОДИ, СПРЯМОВАНІ НА МІНІМІЗАЦІЮ АБО ПОДАЛЬШУ ДЕТАЛІЗАЦІЮ РИЗИКІВ

У наступних розділах наведено важливі ризики, що виникають під час застосування лікарського засобу НЕКСВІАДИМ, разом із заходами з мінімізації таких ризиків і запропонованими дослідженнями, спрямованими на отримання докладнішої інформації про ризики, що виникають під час застосування лікарського засобу НЕКСВІАДИМ.

Заходами з мінімізації ризиків, визначеними для лікарських засобів, можуть бути:

- Конкретна інформація, зокрема попередження, запобіжні заходи та поради щодо правильного використання, зазначена в ІМЗЛЗ, призначена для пацієнтів і співробітників галузі охорони здоров'я;
- Важливі поради на упаковці лікарського засобу;
- Затверджений розмір упаковки: кількість лікарського засобу в упаковці вибирають так, щоби забезпечити його правильне застосування;
- Категорія відпуску лікарського засобу: спосіб відпуску лікарського засобу пацієнту (наприклад, за рецептом або без рецепта) може допомогти мінімізувати ризики, пов'язані з його застосуванням.

Разом ці заходи становлять рутинні заходи з мінімізації ризиків.

Окрім цих заходів, постійно збирається та регулярно аналізується інформація про небажані реакції, включно з регулярно оновлюваними звітами з безпеки лікарських засобів (PSUR), щоби у разі потреби вжити негайних заходів. Із цих заходів складається рутинна діяльність із фармаконагляду.

Якщо наразі відсутня важлива інформація, яка може вплинути на безпечне використання

лікарського засобу НЕКСВІАДИМ, про це зазначається в частині «відсутня інформація», описаній в наступному розділі.

II.A Перелік важливих ризиків і відсутня інформація

Важливими ризиками, пов'язаними із застосуванням лікарського засобу НЕКСВІАДИМ, є такі, що потребують спеціальних заходів щодо управління ризиками для подальшого дослідження або мінімізації ризику з метою безпечного застосування лікарського засобу. Важливі ризики можна розглядати як ідентифіковані або потенційні. Ідентифіковані ризики — це проблеми, щодо яких існує достатньо доказів їхнього зв'язку із застосуванням лікарського засобу НЕКСВІАДИМ. Потенційні ризики — це проблеми, щодо яких існує певна підозра причинно-наслідкового зв'язку з даним лікарським засобом, але цей зв'язок не був підтверджений і потребує подальшої оцінки. Відсутня інформація — дані стосуються інформації про безпеку лікарського засобу та наразі вони відсутні й потребують збирання інформації (наприклад, щодо тривалого застосування лікарського засобу).

Таблиця 1 – Перелік важливих ризиків та відсутня інформація

Важливі ідентифіковані ризики	Інфузійні реакції, включаючи гіперчутливість та анафілактичні реакції, з або без утворення антитіл IgG та IgE
Важливі потенційні ризики	Імуногенність, що призводить до втрати відповіді на лікування (високі стабільні титри антитіл IgG та/або нейтралізуючі антитіла)
	Помилки при застосуванні лікарського засобу в разі проведення інфузії вдома
	Реакції, пов'язані з імунним комплексом
Відсутня інформація	Застосування в період вагітності чи годування груддю
	Застосування у пацієнтів з нирковою або печінковою недостатністю

IgE: Імуноглобулін E; IgG: Імуноглобулін G.

II.B Резюме важливих ризиків

Таблиця 2 — Важливий ідентифікований ризик: «Інфузійні реакції, включаючи гіперчутливість та анафілактичні реакції, з або без утворення антитіл IgG та IgE» з відповідними заходами щодо мінімізації ризику та додатковими заходами з фармаконагляду

Інфузійні реакції, включаючи гіперчутливість та анафілактичні реакції, з або без утворення антитіл IgG та IgE	
Докази зв'язку ризику із застосуванням лікарського засобу	На сьогоднішній день програма клінічної розробки авальглюкозидази альфа включає завершене відкрите дослідження фази 1/2 з підвищенням дози (TDR12857), завершене 28 липня 2015 року, триваюче дослідження безпеки, фармакокінетики та ефективності (LTS13769), рандомізоване подвійне сліпе дослідження фази 3 з оцінки ефективності та безпеки (EFC14028) та відкрите когортне дослідження фази 2 з підвищенням дози для оцінки безпеки, фармакокінетики та попередньої ефективності (ACT14132). ППА для досліджень EFC14028 та ACT14132 завершено. ЕТР для цих двох досліджень продовжується.

Інфузійні реакції, включаючи гіперчутливість та анафілактичні реакції, з або без

утворення антитіл IgG та IgE	
	<p>Інфузійні реакції були зафіксовані в усіх 4 клінічних дослідженнях.</p> <p>Анафілаксія, серйозна потенційно смертельна системна алергічна реакція, яка виникає раптово після контакту з алергеном, була зафіксована у 2 (1,4%) пацієнтів програми авальглюкозидази альфа.</p> <p>Як описано, рівень даних та доказів достатній для демонстрації того, що авальглюкозидаза альфа може бути асоційована з «ІР, включаючи гіперчутливість та анафілактичні реакції». Це відомий ризик, асоційований з ферментозамісними терапіями. Профіль безпеки авальглюкозидази альфа відповідає профілю алглюкозидази і, можливо, є більш сприятливим при лікуванні дорослих та дітей з хворобою Помпе (ІФХП та ПФХП). У клінічних дослідженнях авальглюкозидази повідомлялося про інфузійні реакції, включаючи гіперчутливість. Було визнано, що дані достатньо для включення до ідентифікованого ризику. Враховуючи можливий вплив цієї події на співвідношення користі та ризику, а також той факт, що цей ризик планується зменшити, зокрема, за допомогою маркування, ВРП запропонував включити його як важливий ідентифікований ризик до списку проблем безпеки.</p>
Фактори ризику та групи ризику	<p>Хворобу Помпе класифікують на різні фенотипи залежно від віку початку симптомів, ступеня ураження органів та швидкості прогресування до смерті. Ці фенотипи коливаються від швидко прогресуючої форми з інфантильним початком до більш повільно прогресуючої форми з пізнім початком, зі значною варіабельністю та перекриттям між цими двома крайнощами. Інфантильна форма хвороби Помпе проявляється в перші місяці життя і характеризується тяжкою кардіоміопатією, гіпотонією, дихальною недостатністю та без лікування призводить до смерті протягом першого року. Пацієнти з поширеною хворобою Помпе або порушенням серцевої та/або дихальної функції можуть мати ризик серйозного загострення супутньої патології під час інфузій.</p> <p>У дослідженні EFC14028 частота інфузійних реакцій та гіперчутливості у пацієнтів зростала при більш високих титрах ADA ($\geq 12\ 800$).</p> <p>Крім того, пацієнти з позитивним IgE ADA мають підвищений ризик розвитку анафілактичних реакцій при повторному введенні лікарського засобу.</p>
Заходи з мінімізації ризиків	<p>Рутинні заходи з мінімізації ризиків</p> <p>Зазначено в розділах «Особливості застосування» та «Побічні реакції» ІМЗЛЗ.</p> <p>Інструкції щодо призначення лікування, попереднього лікування, критеріїв прийняття рішення про перехід пацієнта до домашньої інфузії та інструкції у разі побічних реакцій включені до розділу «Спосіб застосування та дози» ІМЗЛЗ.</p> <p>Інструкції щодо зменшення інфузійних реакцій включені до розділу «Особливості застосування» ІМЗЛЗ.</p>

	<p>Інформацію щодо того, як визначити ознаки й симптоми, а також необхідність негайного звернення по медичну допомогу, наведено в розділі «Спосіб застосування та дози» та «Особливості застосування» ІМЗЛЗ.</p> <p>Лікарський засіб відпускають лише за рецептом.</p> <p>Додаткові заходи для мінімізації ризику</p> <p>Навчальні матеріали (Посібник для медичного працівника з імунонагляду та Посібник з проведення інфузії в домашніх умовах).</p>
--	--

Інфузійні реакції, включаючи гіперчутливість та анафілактичні реакції, з або без утворення антитіл IgG та IgE	
Додаткові заходи з фармаконагляду	Післяреєстраційне дослідження безпеки Дослідження LTS13769, EFC14028 (COMET), ACT14132 (mini-COMET) та EFC14462.

ADA: Антитіла до лікарського засобу; ФЗТ: Ферментозамісна терапія; ЕТР: Продовжений період лікування; СГОЗ: Співробітник галузі охорони здоров'я; ІР: Інфузійна реакція; ІgЕ: Імуноглобулін; ІgG: Імуноглобулін G; ІФХП: Інфантильна форма хвороби Помпе; ПФХП: Пізня форма хвороби Помпе; ВРП: Власник реєстраційного посвідчення; ППА: Період первинного аналізу; ФК: Фармакокінетика; ІМЗЛЗ: Інструкція для медичного застосування лікарського засобу.

Таблиця 3 — Важливий потенційний ризик: «Імуногенність, що призводить до втрати відповіді на лікування (високі стійкі титри антитіл IgG та/або нейтралізуючі антитіла)» з відповідними діями з мінімізації ризиків та додатковими діями з фармаконагляду

Імуногенність, що призводить до втрати відповіді на лікування (високі стабільні титри антитіл IgG та/або нейтралізуючі антитіла)	
Докази зв'язку ризику із застосуванням лікарського засобу	<p>На сьогоднішній день програма клінічної розробки авальглюкозидази альфа включає завершене відкрите дослідження фази 1/2 з підвищенням дози (TDR12857), завершене 28 липня 2015 року, триваюче дослідження безпеки, фармакокінетики та ефективності (LTS13769), рандомізоване подвійне сліпе дослідження фази 3 з оцінки ефективності та безпеки (EFC14028) та відкрите когортне дослідження фази 2 з підвищенням дози для оцінки безпеки, фармакокінетики та попередньої ефективності (ACT14132). ППА для досліджень EFC14028 та ACT14132 завершено. ЕТР для цих двох досліджень продовжується.</p> <p>У невеликої кількості пацієнтів розвинулися пікові титри ADA $\geq 51\ 200$ у дослідженнях авальглюкозидази альфа. З 61 пацієнта, які не отримували лікування раніше, 4 пацієнти (3 у EFC14028 та 1 у TDR12857 /LTS13769) мали титри антитіл $\geq 51\ 200$.</p>
Фактори ризику та групи ризику	<p>Наявність або відсутність ендogenous ферменту, вказаного як статус CRIM, є відомим фактором ризику. Для пацієнтів з ІФХП основною групою ризику є CRIM-негативні пацієнти, які не виробляють жодного ендogenous ферменту. Якщо цим пацієнтам не проводиться профілактична індукція імунної толерантності, у них розвиваються високі та стійкі титри антитіл, а також нейтралізуючі антитіла при лікуванні алглюкозидазою альфа, що призводить до поганих клінічних результатів. Ретроспективний аналіз 32 пацієнтів з ІФХП які</p>

	отримували алглюкозидазу альфа, проведений провідним дослідником, показав медіанні титри у CRIM-негативних пацієнтів 51 200 через 24 тижні та 153 600 через 52 тижні, тоді як медіанні титри у CRIM-позитивних пацієнтів становили 600 через 24 тижні та 200 через 52 тижні. Пацієнти з ПФХП виробляють низький рівень ендogenous ферменту і вважаються CRIM-позитивними. Ці пацієнти, як правило, не піддаються ризику розвитку високих та стійких титрів антитіл, і лише невелика кількість з них має високі титри антитіл, які з часом зменшуються. Вплив формування антитіл на довгострокову безпеку та ефективність авальглюкозидази альфа продовжується в довгострокових дослідженнях.
Заходи з мінімізації ризиків	Рутинні заходи з мінімізації ризиків Зазначено в розділах «Особливості застосування» та «Побічні реакції» ІМЗЛЗ. Рекомендації та опис тестування, яке слід враховувати для моніторингу імуногенності, вказані в розділі Зазначено в розділах «Особливості застосування» ІМЗЛЗ.. Лікарський засіб відпускають лише за рецептом.

Імуногенність, що призводить до втрати відповіді (високі стабільні титри антитіл IgG та/або нейтралізуючі антитіла)	
	Додаткові заходи для мінімізації ризику Навчальні матеріали (Посібник для медичного працівника з імунонагляду).
Додаткові заходи з фармаконагляду	Дослідження LTS13769, EFC14028 (COMET), ACT14132 (mini-COMET) та EFC14462.

ADA: Антитіла до лікарського засобу; CRIM: Імунологічний матеріал з перехресною чутливістю; ETP: Продовжений період лікування; СГОЗ: Співробітник галузі охорони здоров'я; ; HSAT: Високий і стабільний титр антитіл; IgE: Імуноглобулін Е; ІФХП: Інфантильна форма хвороби Помпе; ПФХП: Пізня форма хвороби Помпе; Нат: Нейтралізуюче антитіло; ППА: Період первинного аналізу; ФК: Фармакокінетика; ІМЗЛЗ: Інструкція для медичного застосування лікарського засобу.

Таблиця 4 — Важливий потенційний ризик: «Помилка при застосуванні лікарського засобу в разі проведення інфузії вдома» з відповідними заходами щодо мінімізації ризику та додатковими заходами з фармаконагляду

Помилка при застосуванні лікарського засобу в разі проведення інфузії вдома	
Докази зв'язку ризику із застосуванням лікарського засобу	Передбачається та розуміється, що медичний працівник, який вводить авальглюкозидазу альфа в домашніх умовах, має досвід лікування хвороби Помпе, а також застосування інших ФЗТ. Станом на 31 травня 2021 року 15 пацієнтів отримали домашню інфузію під час клінічних випробувань (LTS13769 [N = 2], EFC14028 [N = 11] та ACT14132 [N = 2]). Явища, пов'язані з безпекою, виникли у 4 пацієнтів. Один пацієнт з EFC14028, який отримував авальглюкозидазу альфа в домашніх умовах, мав ІР. 32-річна жінка, яка почала лікування авальглюкозидазою альфа у березні 2019 року, почала отримувати домашні інфузії у квітні 2020 року (перша домашня інфузія була проведена на 59-му тижні в

	<p>період відкритого лікування. Під час першої домашньої інфузії та через дві години після її початку у пацієнта спостерігався набряк повік та гіперемія. Обидва явища були оцінені як несерйозні НЯОІ та ІР легкої інтенсивності. Терапію авальглюкозидазою альфа було припинено, і пацієнтка отримала метилпреднізолон та дексхлорфенірамін в якості корективного лікування. Пацієнт відновився після обох подій в один і той же день. Після цієї перерви в введенні пацієнт повернувся до місця дослідження, щоб отримати інфузії, і його спостерігали на наявність будь-яких повторюваних ІР перед тим, як знову відновити домашні інфузії без рецидивів ІР.</p> <p>Повідомлялося про шість непов'язаних з лікуванням несерйозних НЯ у 2 інших пацієнтів у дослідженні EFC14028 та про 1 непов'язане з лікуванням несерйозне НЯ у 1 пацієнта в дослідженні LTS13769). При проведенні інфузії в домашніх умовах не спостерігалось помилок при застосуванні лікарського засобу в домашніх умовах.</p> <p>У «Звіті про інфузію в домашніх умовах», наданому експертним центром ЕМС, де лікарський засіб МІОЗИМ (алглюкозидаза альфа) регулярно вводять в домашніх умовах як стандартну практику, дані підтвердили, що було виявлено небагато ІР, пов'язаних з введенням лікарського засобу МІОЗИМ (алглюкозидаза альфа), як і при введенні в лікарні. У домашніх умовах не було зареєстровано серйозних ІР, більшість ІР були легкої інтенсивності та не вимагали розширеного клінічного втручання.</p> <p>Однак, як і для інших ФЗТ, для яких можлива інфузія в домашніх умовах, існує потенційний ризик помилок при застосуванні лікарського засобу в домашніх умовах, пов'язаний з недостатнім розумінням інструкцій щодо використання лікарського засобу (наприклад, розрахунок дози, відновлення, введення). Враховуючи ці факти, ВРП пропонує включити в ПУР «Помилки при застосуванні лікарського засобу в домашніх умовах» як важливий потенційний ризик.</p>
Фактори ризику та групи ризику	Частота невідома

Заходи з мінімізації ризиків	Рутинні заходи з мінімізації ризиків Вказано в розділах «Спосіб застосування та дози» ІМЗЛЗ.
-------------------------------------	--

Помилкове застосування лікарського засобу в разі проведення інфузії вдома	
	<p>Вказано в розділах «Спосіб застосування та дози» та «Особливості застосування» ІМЗЛЗ.</p> <p>Критерії прийняття рішення про перехід пацієнта на домашнє лікування включені в розділ «Спосіб застосування та дози» ІМЗЛЗ, а також опис інфраструктури, ресурсів та процедур домашньої інфузії.</p> <p>Заходи щодо утилізації, інструкції щодо відновлення та розведення, а також опис приготування та введення інфузії</p>

	включені до розділу «Спосіб застосування та дози» ІМЗЛЗ. Лікарський засіб відпускають лише за рецептом. Додаткові заходи для мінімізації ризику Навчальні матеріали (Посібник з проведення інфузії в домашніх умовах)).
Додаткові заходи з фармаконагляду	Післяреєстраційне дослідження безпеки Дослідження LTS13769, EFC14028 (COMET), ACT14132 (mini-COMET) та EFC14462.

НЯ: небажане явище; НЯОІ: небажане явище особливого інтересу; ФЗТ: ферментозамісна терапія; ІР: інфузійна реакція; СГОЗ: співробітник галізу охорони здоров'я; ВРП: власник реєстраційного посвідчення; ЛВ: листок-вкладка; ПУР: план управління ризиками; ІМЗЛЗ: Інструкція для медичного застосування лікарського засобу.

Таблиця 5 - Важливий потенційний ризик: «Реакції, пов'язані з імунним комплексом» з відповідними заходами з мінімізації ризику та додатковими заходами з фармаконагляду

Реакції, пов'язані з імунним комплексом	
Докази зв'язку ризику із застосуванням лікарського засобу	Доказів імунних комплексів не спостерігалось в жодній тканині або органі у мишей або мавп. Що стосується інших ФЗТ, через біологічний механізм реакцій, опосередкованих імунними комплексами, цей ризик не можна повністю виключити. Під час клінічних досліджень не було виявлено випадків потенційних імуноопосередкованих реакцій у пацієнтів, а також випадків, які могли б свідчити про імуноопосередковані реакції. Враховуючи відсутність таких випадків та біологічну ймовірність, ВРП пропонує включити в ПУР «Реакції, пов'язані з імунним комплексом» як важливий потенційний ризик.
Фактори ризику та групи ризику	Невідомо.
Заходи з мінімізації ризиків	Рутинні заходи з мінімізації ризиків Дані відсутні Лікарський засіб відпускають лише за рецептом. Додаткові заходи для мінімізації ризику Відсутні
Додаткові заходи з фармаконагляду	Дослідження LTS13769, EFC14028 (COMET), ACT14132 (mini-COMET) та EFC14462.

ФЗТ - ферментозамісна терапія; ВРП — власник реєстраційного посвідчення; ПУР — план управління ризиками.

Таблиця 6 — Відсутня інформація: «Застосування в період вагітності чи годування груддю» з відповідними заходами з мінімізації ризику

Відсутня інформація: Застосування в період вагітності чи годування груддю	
Заходи з мінімізації ризиків	Рутинні заходи з мінімізації ризиків Зазначено в розділі «Застосування у період вагітності або годування груддю» ІМЗЛЗ. Лікарський засіб відпускають лише за рецептом. Додаткові заходи щодо мінімізації ризиків Відсутні
Додаткові заходи з	AGLU03506 (Підреєстр вагітності у пацієнтів з хворобою

фармаконагляду	Помпе).
----------------	---------

ІМЗЛЗ: Інструкція для медичного застосування лікарського засобу.

Таблиця 7 — Відсутня інформація: «Застосування у пацієнтів з нирковою або печінковою недостатністю» з відповідними заходами з мінімізації ризику

Відсутня інформація: Застосування у пацієнтів з нирковою або печінковою недостатністю	
Заходи з мінімізації ризиків	Рутинні заходи з мінімізації ризиків Зазначено в розділах «Спосіб застосування та дози» та «Фармакологічні властивості. Фармакокінетика» ІМЗЛЗ. Лікарський засіб відпускають лише за рецептом. Додаткові заходи щодо мінімізації ризиків Відсутні
Додаткові заходи з фармаконагляду	DIREGC07005 (Реєстр хворих на хворобу Помпе)

ІМЗЛЗ: Інструкція для медичного застосування лікарського засобу.

П.С План післяреєстраційного розвитку

П.С.1 Дослідження, що є умовою отримання реєстраційного посвідчення

Не існує досліджень, які є умовами отримання реєстраційного посвідчення або несуть в собі специфічні зобов'язання щодо застосування лікарського засобу НЕКСВІАДИМ.

П.С.2 Інші дослідження в плані післяреєстраційного розвитку

Таблиця 8. Інші дослідження в плані післяреєстраційного розвитку

LTS13769 (Категорія 3)

Мета дослідження:

Оцінка довготривалої безпеки (включаючи інфузійні реакції та імуногенність) та фармакокінетики повторних інфузій авальглюкозидази альфа кожні 2 тижня.

EFC14028 (COMET) (Категорія 3)

Мета дослідження:

Основна мета — визначити вплив лікування авальглюкозидазою альфа на силу дихальних м'язів, виміряну у відсотках прогнозованої ФЖЕЛ у вертикальному положенні, порівняно з алглюкозидазою альфа.

Вторинні цілі — визначити безпеку (включаючи інфузійні реакції та імуногенність) та вплив лікування авальглюкозидазою альфа на функціональну витривалість (6MWT), силу м'язів при вдиху (MIP), силу м'язів при видиху (MEP), силу м'язів нижніх кінцівок (HND), моторну функцію (QMFT) та якість життя, пов'язану зі здоров'ям (SF-12).

Основна мета цього тривалого довгострокового ЕТР — забезпечити довгострокову безпеку до 96 тижнів, з наступним додатковим періодом довгострокового відкритого спостереження до 144 тижнів. Небажані явища, включаючи небажані явища особливого інтересу та потенційні реакції, опосередковані імунним комплексом, реєструються кожні 2 тижні. Антитіла проти авальглюкозидази альфа (ADA) (з НАТ у пацієнтів з позитивним ADA) оцінюються через 1 тиждень після першої інфузії в ЕТР, потім щомісяця до 73^{-го} тижня, потім кожні 12 тижнів до кінця періоду спостереження.

ACT14132 (mini-COMET) (Категорія 3)

Мета дослідження:

Основна мета дослідження — оцінити профіль безпеки, включаючи інфузійні реакції та імуногенність авальглюкозидази альфа у пацієнтів з ІФХП, які раніше отримували лікування

алглюкозидазою альфа.

EFC14462 (Категорія 3)

Мета дослідження:

Основною метою є визначення безпеки, переносимості та впливу лікування авальглюкозидазою альфа на виживання та виживання без інвазивної штучної вентиляції легень пацієнтів з ІФХП віком до 6 місяців після 52 тижнів лікування.

Вторинними цілями є визначення впливу лікування авальглюкозидазою альфа на виживання та виживання без інвазивної вентиляції легень у віці 12 та 18 місяців, а також зміни у показнику МЛШ-Z; показника AIMS; показників довжини тіла, ваги та окружності голови Z; та показника Гекс 4 у сечі на 52-му тижні; визначення фармакокінетичного профілю на 12-му та 52-му тижні; визначення безпеки, переносимості та імуногенності авальглюкозидази альфа.

DIREGC07005 (Реєстр хворих на хворобу Помпе) (Категорія 3)

Мета дослідження:

Реєстр хворих з хворобою Помпе регулярно збирає та аналізує клінічні дані, пов'язані з початком, прогресуванням та лікуванням хвороби Помпе, включаючи пацієнтів, які отримували лікування авальглюкозидазою альфа і які також повідомляє про ниркову та/або печінкову недостатність.

AGLU03506 (Підреєстр вагітності при хворобі Помпе) (Категорія 3)

Мета дослідження:

Основна мета цього підреєстру — відстежувати результати вагітності, включаючи ускладнення та ріст немовляти, у всіх жінок з хворобою Помпе під час вагітності, незалежно від того, чи отримують вони специфічну терапію, таку як ФЗТ алглюкозидазою альфа або авальглюкозидазою альфа.

Цей підреєстр є багатоцентровою, міжнародною, довгостроковою, обсерваційною та добровільною програмою, призначеною для відстеження результатів вагітності для будь-якої вагітної жінки, зареєстрованої в Реєстрі пацієнтів з хворобою Помпе, незалежно від того, чи отримує вона специфічну терапію з приводу захворювання (наприклад, ФЗТ алглюкозидазою альфа або авальглюкозидазою альфа) і незалежно від комерційного лікарського засобу, яким її можна лікувати.

Післяреєстраційне дослідження безпеки (категорія 3)

Мета дослідження:

Метою цього дослідження є структурований збір більш повної інформації про безпеку авальглюкозидази альфа для подальшого визначення важливого виявленого ризику інфузійних реакцій, включаючи гіперчутливість та анафілактичні реакції, а також лікарського засобу в домашніх умовах/лікарні.

T6XX: Тест 6-хвилинної ходьби; ADA: Антитіла до лікарського засобу; AIMS: Шкала моторики новонароджених Альберта; ETR: Продовжений період лікування; ФЗТ: Ферментозамісна терапія; ФЖЕЛ: Форсована життєва ємність легень; Гекс4: Тетрасахарид гексози; ННД: Ручна динамометрія; ІФХП: Інфантильна форма хвороби Помпе; МЛШ-Z: Маса лівого шлуночка-Z; МЕР: Максимальний тиск видиху; МІР: Максимальний тиск вдиху; Нат: Нейтралізуюче антитіло; ФК: Фармакокінетика; QMFT: Короткий руховий функціональний тест; SF-12: Коротка форма опитування про стан здоров'я з 12 питань.

ПЕРЕЛІК ВИКОРИСТАНИХ ДЖЕРЕЛ

Відсутні