



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/950090/2022  
EMA/H/C/005703

## Pombiliti (*cipaglucosidase alfa*)

Общ преглед на Pombiliti и основания за разрешаване в ЕС

### Какво представлява Pombiliti и за какво се използва?

Pombiliti е лекарство, което се използва за лечение на възрастни с болест на Pompe с късно начало (дефицит на кисела  $\alpha$ -глюкозидаза [GAA]) — наследствено нарушение, при което пациентите имат затруднения в дишането и мускулна слабост. Pombiliti се използва в комбинация с друго лекарство, миглустат.

Pombiliti съдържа активното вещество ципаглюкозидаза алфа (cipaglucosidase alfa).

### Как се използва Pombiliti?

Pombiliti се прилага чрез инфузия (вливане) във вена през седмица. Инфузията започва 1 час след приема на миглустат и продължава 4 часа. Pombiliti може да се прилага у дома при пациенти, които понасят добре инфузиите.

Лекарственият продукт се отпуска по лекарско предписание и лечението трябва да се наблюдава от лекар с опит в лечението на пациенти с болест на Pompe или подобни заболявания.

За повече информация относно употребата на Pombiliti вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

### Как действа Pombiliti?

При пациентите с болест на Pompe липсва ензим, наречен кисела алфа-глюкозидаза (GAA), който е важен за разграждането на гликогена (сложна захар, съхранявана в организма) до глюкоза (обикновена захар). В резултат гликогенът се натрупва в мускулите, включително сърцето и диафрагмата (основният дихателен мускул под белите дробове), което причинява сърдечни проблеми, затруднения в дишането и мускулна слабост.

Активното вещество в Pombiliti, ципаглюкозидаза алфа, е ензим, който действа по същия начин като липсващия GAA ензим (т.е. разгражда гликогена на глюкоза). Той заменя GAA и

---

**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



предотвратява по-нататъшни увреждания, причинени от натрупването на гликоген. Pombiliti се прилага в комбинация с миглустат, ензимен стабилизатор, който помага за запазване на функционалността на ципаглюкозидаза алфа.

## **Какви ползи от Pombiliti са установени в проучванията?**

Едно основно проучване, обхващащо 125 пациенти, показва, че Pombiliti в комбинация с миглустат подобрява физическите способности на пациентите с болест на Помпе с късно начало. Проучването разглежда промените в разстоянието, което пациентите са в състояние да изминат преди и след лечението. Пациентите, лекувани с Pombiliti и миглустат в продължение на 1 година, са в състояние да изминат 20 метра повече за 6 минути, отколкото преди лечението.

## **Какви са рисковете, свързани с Pombiliti?**

Най-честите нежелани реакции при Pombiliti (които може да засегнат не повече от 1 на 10 души) са втрисане, замаяност, зачервяване, сънливост, дискомфорт в гърдите, кашлица, подуване на мястото на инфузията и болка.

Сериозните нежелани реакции (които може да засегнат не повече от 1 на 50 души) са обрив със сърбеж, сериозни алергични реакции, повишена температура, усещане за слабост, затруднено дишане, подуване на гърлото, хрипове и ниско кръвно налягане.

Pombiliti не трябва да се прилага при хора, които са имали животозастрашаващи алергични реакции към активното вещество или към някоя от останалите съставки на лекарството. Също така не трябва да се прилага при хора, които не могат да приемат миглустат.

За пълния списък на нежеланите реакции и ограниченията вижте листовката.

## **Защо Pombiliti е разрешен за употреба в ЕС?**

Болестта на Помпе е рядко и инвалидизиращо заболяване, като пациентите имат животозастрашаващи сърдечни и респираторни проблеми. Проучванията показват, че когато се прилага в комбинация с миглустат, Pombiliti е ефективен за подобряване или стабилизиране на физическите способности на пациентите с болест на Помпе с късно начало. Счита се, че нежеланите реакции при Pombiliti, които са предимно леки до умерени, подлежат на овладяване. Затова Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Pombiliti са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

## **Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Pombiliti?**

Фирмата, която предлага Pombiliti, ще предостави обучителни материали за инфузията в домашни условия на медицински специалисти, които се очаква да предписват, отпускат или използват Pombiliti. Те са предназначени да предоставят насоки за това как Pombiliti и миглустат трябва да се прилагат на пациентите и как да се управляват рисковете, свързани с инфузията, например алергични реакции. На пациентите ще бъдат предоставени също указания за инфузията в домашни условия и дневник на инфузиите, за да им се помогне да разпознават и съобщават реакциите, свързани с инфузиите.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Pombiliti и миглустат, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени също в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Pombiliti в комбинация с миглустат непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Pombiliti, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

### **Допълнителна информация за Pombiliti:**

Допълнителна информация за Pombiliti можете да намерите на уебсайта на Агенцията:

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pombiliti](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pombiliti)