



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pombiliti (*cipaglucosidase alfa*)

En oversigt over Pombiliti, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Pombiliti, og hvad anvendes det til?

Pombiliti er et lægemiddel til behandling af voksne med Pompes sygdom med sen debut (syre-alfa-glucosidase [GAA]-mangel), som er en arvelig sygdom med vejrtrækningsbesvær og muskelsvaghed. Pombiliti anvendes i kombination med et andet lægemiddel, miglustat.

Pombiliti indeholder det aktive stof cipaglucosidase alfa.

Hvordan anvendes Pombiliti?

Pombiliti gives ved infusion (drop) i en vene hver anden uge. Infusionen starter 1 time efter indtagelsen af miglustat og varer 4 timer. Pombiliti kan gives hjemme til patienter, der tåler deres infusioner godt.

Lægemidlet fås kun på recept, og behandlingen bør overvåges af en læge med erfaring inden for behandling af patienter med Pompes sygdom eller lignende sygdomme.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Pombiliti, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Pombiliti?

Patienter med Pompes sygdom mangler enzymet syre-alfa-glucosidase (GAA), som er vigtigt for nedbrydningen af glykogen (et komplekst sukker, der lagres i kroppen) til glukose (et simpelt sukker). Derved ophobes der glykogen i musklerne, herunder hjertet og mellemgulvet (den vigtigste vejrtrækningsmuskel under lungerne), hvilket giver hjerteproblemer, vejrtrækningsbesvær og muskelsvaghed.

Det aktive stof i Pombiliti, cipaglucosidase alfa, er et enzym, der virker på samme måde som det manglende GAA-enzym (dvs. det nedbryder glykogen til glukose). Det erstatter GAA og forebygger yderligere skade som følge af ophobning af glykogen. Pombiliti gives i kombination med miglustat, som er en enzymstabilisator, der hjælper cipaglucosidase alfa med at opretholde sin virkning.



Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Pombiliti?

Et hovedstudie med 125 patienter viste, at Pombiliti i kombination med miglustat forbedrede de fysiske evner hos patienter med Pompes sygdom med sen debut. Studiet så på ændringer i den afstand, patienterne kunne gå før og efter behandlingen. I gennemsnit kunne de patienter, der blev behandlet med Pombiliti og miglustat i 1 år, gå 20 meter mere på 6 minutter, end de kunne inden behandlingen.

Hvilke risici er der forbundet med Pombiliti?

De hyppigste bivirkninger ved Pombiliti (som kan forekomme hos op til 1 ud af 10 personer) er kulderystelser, svimmelhed, rødmen, søvnighed, ubehag i brystet, hoste, hævelse på infusionsstedet og smerter.

Alvorlige bivirkninger (som kan forekomme hos op til 1 ud af 50 personer) er kløende udslæt, alvorlige allergiske reaktioner, feber, svimmelhed, vejtrækningsbesvær, hævelse i halsen, hiven efter vejret og lavt blodtryk.

Pombiliti må ikke anvendes hos personer, der har haft livstruende allergiske reaktioner over for det aktive stof eller nogen af de øvrige indholdsstoffer i lægemidlet. Det må heller ikke anvendes hos personer, der ikke kan få miglustat.

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor er Pombiliti godkendt i EU?

Pompes sygdom er en sjælden og invaliderende sygdom, hvor patienterne har livstruende hjerte- og vejtrækningsproblemer. Studier viser, at Pombiliti er effektivt til at forbedre eller stabilisere de fysiske evner hos patienter med Pompes sygdom med sen debut, når det gives i kombination med miglustat. Bivirkningerne ved Pombiliti, der for det meste er lette til moderate, anses for at være håndterbare. Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Pombiliti opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Pombiliti?

Virksomheden, der markedsfører Pombiliti, vil udlevere oplysningsmateriale om infusion i hjemmet til sundhedspersoner, der forventes at ordinere, udlevere eller anvende Pombiliti. Det yder vejledning i, hvordan patienter bør gives Pombiliti og miglustat, og hvordan de skal håndtere de risici, der er forbundet med infusionen, f.eks. allergiske reaktioner. Patienterne vil også få udleveret en vejledning om infusion i hjemmet og en infusionsdagbog, der skal hjælpe med at genkende og indberette infusionsreaktioner.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Pombiliti og miglustat.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende brugen af Pombiliti i kombination med miglustat løbende overvåget. De indberettede bivirkninger ved Pombiliti vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Andre oplysninger om Pombiliti

Yderligere information om Pombiliti findes på agenturets websted under:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pombiliti