



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pombiliti (*Cipaglucosidase alfa*)

Übersicht über Pombiliti und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Pombiliti und wofür wird es angewendet?

Pombiliti ist ein Arzneimittel, das zur Behandlung von Erwachsenen mit später auftretender Morbus Pompe (saurer alpha-Glucosidase-[GAA-]Mangel) angewendet wird, einer erblichen Erkrankung, bei der die Patienten unter Atembeschwerden und Muskelschwäche leiden. Pombiliti wird in Kombination mit einem anderen Arzneimittel, Miglustat, angewendet.

Pombiliti enthält den Wirkstoff Cipaglucosidase alfa.

Wie wird Pombiliti angewendet?

Pombiliti wird alle zwei Wochen als Infusion (Tropfinfusion) in eine Vene verabreicht. Die Infusion beginnt 1 Stunde nach der Einnahme von Miglustat und dauert 4 Stunden. Pombiliti kann zu Hause bei Patienten angewendet werden, die ihre Infusionen gut vertragen.

Das Arzneimittel ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich, und die Behandlung sollte von einem in der Behandlung von Patienten mit Morbus Pompe oder ähnlichen Erkrankungen erfahrenen Arzt überwacht werden.

Weitere Informationen zur Anwendung von Pombiliti entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Wie wirkt Pombiliti?

Patienten mit Morbus Pompe fehlt ein Enzym namens saure alpha-Glucosidase (GAA), das wichtig ist, um Glykogen (einen im Körper gelagerten komplexen Zucker) zu Glucose (einem einfachen Zucker) aufzuspalten. Dadurch akkumuliert Glykogen in den Muskeln, einschließlich Herz und Zwerchfell (dem Hauptatmungsmuskel unter der Lunge), was zu Herzproblemen, Atembeschwerden und Muskelschwäche führt.



Der Wirkstoff in Pombiliti, Cipaglucohydrolase alfa, ist ein Enzym, das auf dieselbe Weise wirkt wie das fehlende GAA-Enzym (d. h. Glykogen in Glucose abbaut). Es ersetzt GAA und verhindert weitere Schädigungen, die durch die Anreicherung von Glykogen verursacht werden. Pombiliti wird in Kombination mit Miglustat angewendet, einem Enzymstabilisator, der dazu beiträgt, dass Cipaglucohydrolase alfa funktionsfähig bleibt.

Welchen Nutzen hat Pombiliti in den Studien gezeigt?

Eine Hauptstudie, an der 125 Patienten teilnahmen, zeigte, dass Pombiliti in Kombination mit Miglustat die körperlichen Fähigkeiten von Patienten mit später einsetzender Morbus Pompe verbesserte. In der Studie wurden Veränderungen der Entfernung untersucht, die Patienten vor und nach der Behandlung gehen konnten. Im Durchschnitt konnten Patienten, die 1 Jahr lang mit Pombiliti und Miglustat behandelt wurden, in 6 Minuten 20 Meter mehr gehen als vor der Behandlung.

Welche Risiken sind mit Pombiliti verbunden?

Sehr häufige Nebenwirkungen von Pombiliti (die bis zu 1 von 10 Behandelten betreffen können) sind Schüttelfrost, Schwindel, Hitzewallungen, Schläfrigkeit, Brustkorbbeschwerden, Husten, Schwellungen an der Infusionsstelle und Schmerzen.

Schwerwiegende Nebenwirkungen (die bis zu 1 von 50 Behandelten betreffen können) sind juckender Hautausschlag, schwere allergische Reaktionen, Fieber, Schwächegefühl, Atembeschwerden, Schwellung im Rachen, pfeifende Atemgeräusche und niedriger Blutdruck.

Pombiliti darf nicht bei Personen angewendet werden, bei denen lebensbedrohliche allergische Reaktionen auf den Wirkstoff oder einen der sonstigen Bestandteile des Arzneimittels aufgetreten sind. Es darf auch nicht bei Personen angewendet werden, bei denen Miglustat nicht angewendet werden kann.

Die vollständige Auflistung der Nebenwirkungen und Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Warum wurde Pombiliti in der EU zugelassen?

Morbus Pompe ist eine seltene und schwächende Erkrankung, bei der Patienten lebensbedrohliche Herz- und Atemprobleme haben. Studien zeigen, dass Pombiliti bei Anwendung in Kombination mit Miglustat die körperlichen Fähigkeiten von Patienten mit später einsetzender Morbus Pompe wirksam verbessert oder stabilisiert. Die Nebenwirkungen von Pombiliti, die zumeist leicht bis mittelschwer sind, werden als beherrschbar erachtet. Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte zu dem Schluss, dass der Nutzen von Pombiliti gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Pombiliti ergriffen?

Das Unternehmen, das Pombiliti in Verkehr bringt, wird Angehörigen der Heilberufe, die Pombiliti voraussichtlich verschreiben, ausgeben oder anwenden werden, Schulungsmaterialien zur häuslichen Infusion zur Verfügung stellen. Sie sollen eine Anleitung dafür bieten, wie Pombiliti und Miglustat den Patienten verabreicht werden sollte und wie die mit der Infusion verbundenen Risiken, wie z. B. allergische Reaktionen, zu handhaben sind. Die Patienten erhalten außerdem einen Leitfaden zur häuslichen Infusion und ein Infusionstagebuch, das ihnen helfen soll, Infusionsreaktionen zu erkennen und zu melden.

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Pombiliti, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden auch in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Pombiliti in Kombination mit Miglustat kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Pombiliti werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Pombiliti

Weitere Informationen zu Pombiliti finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pombiliti