



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pombiliti (*sipaglukosidaasi alfa*)

Yleistiedot Pombiliti-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Pombiliti on ja mihin sitä käytetään?

Pombiliti on lääke, jolla hoidetaan aikuisten myöhään ilmenevää Pompen tautia (happaman alfa-glukosidaasin [GAA] puutos). Se on perinnöllinen sairaus, jossa potilailla on hengitysvaikeuksia ja lihasheikkoutta. Pombilitia käytetään yhdessä toisen lääkkeen, miglustaatin, kanssa.

Pombilitin vaikuttava aine on sipaglukosidaasi alfa.

Miten Pombiliti-valmistetta käytetään?

Pombilitia annetaan infuusiona (tiputuksena) laskimoon joka toinen viikko. Infuusion antaminen aloitetaan tunnin kuluttua miglustaatin ottamisesta ja kestää neljä tuntia. Lääkevalmiste voidaan antaa kotona potilaille, jotka sietävät infuusiot hyvin.

Pombiliti on reseptivalmiste, ja hoito on annettava Pompen taudin tai samankaltaisten sairauksien hoitoon perehtyneen lääkärin valvonnassa.

Lisätietoja Pombilitin käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Pombiliti vaikuttaa?

Pompen tautia sairastavilta potilailta puuttuu hapan alfa-glukosidaasi (GAA) -entsyymi. Sillä on tärkeä tehtävä glykokeenin (elimistöön varastoitunut polysakkaridi) hajottamisessa glukooksiksi (yksinkertainen sokeri). Entsyymien puuttumisen vuoksi glykokeeni kertyy lihaksiin, kuten sydämeen ja palleaan (keuhkojen alla oleva tärkein hengityslihas), mikä aiheuttaa sydänongelmia, hengitysvaikeuksia ja lihasheikkoutta.

Pombilitin vaikuttava aine sipaglukosidaasi alfa on entsyymi, joka vaikuttaa samalla tavalla kuin puuttuva GAA-entsyymi (eli hajottaa glykokeenin glukooksiksi). Se korvaa GAA:n ja ehkäisee glykokeenin kertymisestä aiheutuvia lisävaurioita. Pombilitia annetaan yhdessä miglustaatin kanssa, joka on entsyymien stabiloija. Se auttaa sipaglukosidaasi alfaa säilyttämään toimintakykynsä.



Mitä hyötyä Pombilitista on havaittu tutkimuksissa?

Päätutkimuksessa, johon osallistui 125 potilasta, osoitettiin, että Pombiliti yhdessä miglustaatin kanssa paransi niiden potilaiden fyysistä toimintakykyä, joilla on myöhään ilmenevä Pompen tauti. Tutkimuksessa tarkasteltiin muutoksia potilaiden kävelemän matkan pituudessa ennen hoitoa ja sen jälkeen. Pombilitia ja miglustaattia vuoden ajan saaneet potilaat pystyivät kävelemään keskimäärin 20 metriä enemmän kuudessa minuutissa verrattuna tilanteeseen ennen hoitoa.

Mitä riskejä Pombilitiin liittyy?

Pombilitin yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua enintään 1 potilaalle 10:stä) ovat vilunväristykset, huimaus, punoitus, uneliaisuus, epämiellyttävä tunne rinnassa, yskä, infuusiokohdan turvotus ja kipu.

Vakavia haittavaikutuksia (joita saattaa aiheutua enintään 1 potilaalle 50:stä) ovat kutiava ihottuma, vakavat allergiset reaktiot, kuume, heikotus, hengitysvaikeudet, kurkun turpoaminen, hengityksen vinkuminen ja alhainen verenpaine.

Pombilitia ei saa antaa henkilöille, jotka ovat saaneet hengenvaarallisia allergisia reaktioita vaikuttavasta aineesta tai jostakin muusta lääkevalmisteeseen sisältämästä aineesta. Sitä ei myöskään saa antaa henkilöille, jotka eivät voi käyttää miglustaattia.

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Pombiliti on hyväksytty EU:ssa?

Pompen tauti on harvinainen toimintakykyä heikentävä sairaus, jossa potilaille kehittyy hengenvaarallisia sydän- ja hengitysongelmia. Tutkimukset osoittavat, että miglustaatin kanssa annettuna Pombiliti parantaa tai vakauttaa tehokkaasti niiden potilaiden fyysistä toimintakykyä, joilla on myöhään ilmenevä Pompen tauti. Pombilitin haittavaikutuksia, jotka ovat enimmäkseen lieviä tai kohtalaisia, pidetään hallittavina. Näin ollen Euroopan lääkevirasto katsoi, että Pombilitin hyöty on sen riskejä suurempi, ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Pombilitin turvallinen ja tehokas käyttö?

Pombilitia markkinoiva yhtiö toimittaa perehdytysmateriaalia kotona annettavasta infuusiosta niille terveydenhuollon ammattilaisille, joiden odotetaan määräävän, jakavan tai käyttävän Pombilitia työssään. Tarkoituksena on antaa ohjeita siitä, miten Pombilitia ja miglustaattia annetaan potilaille ja miten infuusioon liittyviä riskejä, kuten allergisia reaktioita, hallitaan. Potilaille annetaan myös opas ja infuusiopäiväkirja kotona annettavaa infuusiota varten. Sen on tarkoitus auttaa tunnistamaan infuusioon liittyvät reaktiot ja ilmoittamaan niistä.

Suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Pombilitin ja miglustaatin käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Tietoja Pombilitin käytöstä yhdessä miglustaatin kanssa seurataan jatkuvasti, kuten kaikista lääkkeistä tehdään. Pombilitista ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Pombilitista

Lisää tietoa Pombilitista on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pombiliti