



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pombiliti (*cipaglucosidase alfa*)

Aperçu de Pombiliti et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce que Pombiliti et dans quel cas est-il utilisé?

Pombiliti est un médicament utilisé dans le traitement des adultes atteints de la forme tardive de la maladie de Pompe (déficit en alpha-glucosidase acide [GAA]), une maladie héréditaire provoquant des difficultés respiratoires et une faiblesse musculaire. Pombiliti est utilisé en association avec un autre médicament, le miglustat.

Pombiliti contient la substance active cipaglucosidase alfa.

Comment Pombiliti est-il utilisé?

Pombiliti est administré par perfusion (goutte-à-goutte) dans une veine toutes les deux semaines. La perfusion débute une heure après la prise de miglustat et dure quatre heures. Pombiliti peut être administré à domicile chez les patients qui tolèrent bien leurs perfusions.

Le médicament n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être supervisé par un médecin expérimenté dans la prise en charge des patients atteints de la maladie de Pompe ou de maladies similaires.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Pombiliti, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.

Comment Pombiliti agit-il?

Les patients atteints de la maladie de Pompe ne produisent pas une enzyme appelée alpha-glucosidase acide (GAA), qui est importante pour décomposer le glycogène (un sucre complexe stocké dans l'organisme) en glucose (un sucre simple). En conséquence, le glycogène s'accumule dans les muscles, y compris dans le cœur et le diaphragme (le principal muscle respiratoire sous les poumons), ce qui entraîne des problèmes cardiaques, des difficultés respiratoires et une faiblesse musculaire.



La substance active de Pombiliti, la cipaglucohydrolase alfa, est une enzyme qui agit de la même manière que l'enzyme GAA manquante (c'est-à-dire qu'elle agit dans la décomposition du glycogène en glucose). Elle remplace la GAA et prévient d'autres lésions causées par l'accumulation de glycogène. Pombiliti est administré en association avec le miglustat, un stabilisateur enzymatique qui aide la cipaglucohydrolase alfa à rester fonctionnelle.

Quels sont les bénéfices de Pombiliti démontrés au cours des études?

Une étude principale portant sur 125 patients a montré que Pombiliti utilisé en association avec le miglustat améliorait les capacités physiques des patients atteints de la forme tardive de la maladie de Pompe. L'étude examinait les modifications de la distance que les patients étaient capables de parcourir avant et après le traitement. En moyenne, les patients traités par Pombiliti et miglustat pendant un an étaient capables de marcher 20 mètres de plus en 6 minutes qu'avant le traitement.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Pombiliti?

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Pombiliti (qui peuvent toucher jusqu'à une personne sur 10) sont les frissons, les sensations vertigineuses, les bouffées congestives, la somnolence, la gêne thoracique, la toux, un gonflement au site de perfusion et des douleurs.

Les effets indésirables graves (qui peuvent toucher jusqu'à une personne sur 50) sont les suivants: éruption cutanée avec démangeaisons, réactions allergiques graves, fièvre, sensation de faiblesse, difficultés respiratoires, gonflement au niveau de la gorge, respiration sifflante et tension artérielle basse.

Pombiliti ne doit pas être utilisé chez les personnes ayant présenté des réactions allergiques engageant le pronostic vital à la substance active ou à l'un des autres composants du médicament. Il ne doit pas non plus être utilisé chez les personnes qui ne peuvent pas recevoir de miglustat.

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions, voir la notice.

Pourquoi Pombiliti est-il autorisé dans l'UE?

La maladie de Pompe est une maladie rare et invalidante, provoquant des problèmes cardiaques et respiratoires qui engagent le pronostic vital. Les études montrent que, lorsqu'il est administré en association avec le miglustat, Pombiliti est efficace pour améliorer ou stabiliser les capacités physiques des patients atteints de la forme tardive de la maladie de Pompe. Les effets indésirables de Pombiliti, qui sont pour la plupart d'intensité légère à modérée, sont considérés comme gérables. L'Agence européenne des médicaments a dès lors estimé que les bénéfices de Pombiliti sont supérieurs à ses risques et a autorisé l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Pombiliti?

La société qui commercialise Pombiliti fournira du matériel éducatif sur la perfusion à domicile aux professionnels de santé qui sont censés prescrire, délivrer ou utiliser Pombiliti. Ce matériel vise à fournir des orientations sur la façon dont Pombiliti et le miglustat doivent être administrés aux patients et sur la manière de gérer les risques liés à la perfusion, tels que les réactions allergiques. Les patients recevront également un guide sur la perfusion à domicile et un journal de perfusion afin de les aider à reconnaître et à signaler les réactions liées à la perfusion.

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Pombiliti ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Pombiliti utilisé en association avec le miglustat sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés avec Pombiliti sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Pombiliti:

Des informations sur Pombiliti sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous:

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