



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pombiliti (*alfa-cipaglikozidāze*)

Pombiliti pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir *Pombiliti* un kāpēc tās lieto?

Pombiliti ir zāles, ko lieto, lai ārstētu pieaugušos ar vēlīni sākušos Pompes slimību (skābās alfa-glikozidāzes [GAA] deficītu), iedzimtu slimību, kad pacientiem ir elpošanas grūtības un muskuļu vājums. *Pombiliti* lieto kombinācijā ar citām zālēm miglustatu.

Pombiliti satur aktīvo vielu alfa-cipaglukozidāzi.

Kā lieto *Pombiliti*?

Pombiliti ievada vēnā infūzijas veidā (pa pilienam) katru otro nedēļu. Infūzija sākas vienu stundu pēc miglustata lietošanas un ilgst četras stundas. Pacientiem, kuri labi panes infūzijas, *Pombiliti* var ievadīt mājas apstākļos.

Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana ir jāuzrauga ārstam ar pieredzi Pompes slimības vai līdzīgu slimību ārstēšanā.

Papildu informāciju par *Pombiliti* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

Kā darbojas *Pombiliti*?

Pacientiem ar Pompes slimību trūkst fermenta alfa-glikozidāzes (GAA) skābes, kas ir svarīga glikogēna (organismā uzglabātā kompleksā cukura) noārdīšanai par glikozi (vienkāršs cukurs). Tā rezultātā glikogēns uzkrājas muskuļos, tostarp sirdī un diafragmā (galvenajā elpošanas muskulī zem plaušām), izraisot sirdsdarbības traucējumus, elpošanas grūtības un muskuļu vājumu.

Pombiliti aktīvā viela alfa-cipaglukozidāze ir enzīms, kas darbojas tāpat kā trūkstošais GAA enzīms (t. i., glikogēna sašķelšana glikozē). Tā aizstāj GAA un novērš turpmāku kaitējumu, ko izraisa glikogēna uzkrāšanās. *Pombiliti* lieto kombinācijā ar miglustatu — enzīmu stabilizatoru, kas palīdz uzturēt alfa-cipaglukozidāzi funkcionālo darbību.



Kādi *Pombiliti* ieguvumi atklāti pētījumos?

Pamatpētījumā, kurā piedalījās 125 pacienti, pierādīja, ka *Pombiliti* kombinācijā ar miglustatu uzlaboja fiziskās spējas pacientiem ar vēlīnu Pompes slimību. Pētījumā vērtēja attāluma izmaiņas, ko pacienti spēja noiet pirms un pēc ārstēšanas. Vidēji pacienti, kurus vienu gadu ārstēja ar *Pombiliti* un miglustatu, 6 minūtēs varēja noiet par 20 metriem vairāk, nekā pirms ārstēšanas.

Kāds risks pastāv, lietojot *Pombiliti*?

Visbiežākās *Pombiliti* blakusparādības (kas var rasties līdz 1 no 10 cilvēkiem) ir drebuļi, reibonis, pietvīkums, miegainība, diskomforta sajūta krūtīs, klepus, pietūkums infūzijas vietā un sāpes.

Nopietnas blakusparādības (kas var rasties līdz 1 no 50 cilvēkiem) ir niezoši izsitumi, nopietnas alerģiskas reakcijas, drudzis, ģīboņa sajūta, elpošanas grūtības, rīkles pietūkums, sēkšana un zems asinsspiediens.

Pombiliti nedrīkst lietot cilvēkiem, kuriem ir bijušas dzīvību apdraudošas alerģiskas reakcijas uz aktīvo vielu vai kādu citu šo zāļu sastāvdaļu. Tās nedrīkst lietot arī cilvēki, kuriem nav miglustata.

Pilnu blakusparādību un ierobežojumu sarakstu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Kāpēc *Pombiliti* ir reģistrētas ES?

Pompes slimība ir reta un novājināša slimība, kad pacientiem ir dzīvību apdraudošas sirds un elpošanas problēmas. Pētījumi liecina, ka, lietojot kombinācijā ar miglustatu, *Pombiliti* efektīvi uzlabo vai stabilizē pacientu fiziskās spējas ar vēlīnu Pompes slimību. *Pombiliti* blakusparādības, kas lielākoties ir vieglas līdz vidēji smagas, tiek uzskatītas par kontrolējamām. Tāpēc Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Pombiliti*, pārsniedz šo zāļu radīto risku, un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Pombiliti* lietošanu?

Uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Pombiliti*, izsniegs izglītojošus materiālus veselības aprūpes speciālistiem, kuri varētu izrakstīt, izsniegt vai lietot *Pombiliti*. Tie ir paredzēti norādījumu sniegšanai par *Pombiliti* un miglustata lietošanu pacientiem un par to, kā pārvaldīt ar infūziju saistītos riskus, piemēram, alerģiskas reakcijas. Pacientiem tiks nodrošināta arī rokasgrāmata par infūziju veikšanu mājas apstākļos un infūzijas dienasgrāmata, kas palīdzēs atpazīt ar infūziju saistītas reakcijas un ziņot par tām.

Turklāt zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Pombiliti* un miglustata lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Pombiliti* lietošanu kombinācijā ar miglustatu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Pombiliti* lietošanu saistītās iespējamās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Pombiliti*

Sīkāka informācija par *Pombiliti* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:

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