



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pombiliti (*cipaglucosidase alfa*)

Ħarsa ġenerali lejn Pombiliti u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Pombiliti u għal xiex jintuża?

Pombiliti huwa mediċina li tintuża għat-trattament ta' adulti bil-marda ta' Pompe li tfeġġ tard (defiċjenza ta' acid alpha-glucosidase [GAA]), disturb li jintiret fejn il-pazjenti jkollhom diffikultajiet fit-teħid tan-nifs u dgħufija fil-muskoli. Pombiliti jintuża flimkien ma' mediċina oħra, miglustat.

Pombiliti fih is-sustanza attiva cipaglucosidase alfa.

Kif jintuża Pombiliti?

Pombiliti jingħata permezz ta' infużjoni (dripp) ġo vina ġimgħa iva u ġimgħa le. L-infużjoni tibda siegħa wara li jittiehed miglustat u ddum 4 sigħat. Pombiliti jista' jingħata d-dar f'pazjenti li jittolleraw sew l-infużjonijiet tagħhom.

Il-mediċina tista' tinkiseb biss b'riċetta ta' tabib u t-trattament għandu jiġi sorveljat minn tabib b'esperjenza fl-immaniġġjar ta' pazjenti bil-marda ta' Pompe jew mard simili.

Għal iktar informazzjoni dwar l-użu ta' Pombiliti, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

Kif jaħdem Pombiliti?

Pazjenti bil-marda ta' Pompe għandhom nuqqas ta' enzima msejja acid alpha-glucosidase (GAA) li hija importanti biex tkisser il-glycogen (zokkor kumpless maħżun fil-ġisem) fi glucose (zokkor sempliċi). B'riżultat ta' dan, il-glycogen jakkumula fil-muskoli, inkluz fil-qalb u fid-dijaframma (il-muskolu tat-teħid tan-nifs ewlieni taħt il-pulmuni), u jikkawża problemi fil-qalb, diffikultajiet fit-teħid tan-nifs u dgħufija fil-muskoli.

Is-sustanza attiva f'Pombiliti, cipalucosidase alfa, hija enzima li taġixxi bl-istess mod bħall-enzima GAA nieqsa (jiġifieri li tkisser il-glycogen fi glucose). Din tiehu post il-GAA u tipprevjeni aktar ħsara kkawżata mill-akkumulazzjoni ta' glycogen. Pombiliti jingħata flimkien ma' miglustat, stabilizzatur tal-enzimi li jgħin il-cipalucosidase alfa tibqa' funzjonali.



X'inhuma l-benefiċċji ta' Pombiliti li ħarġu mill-istudji?

Studju ewlieni li involva 125 pazjent wera li Pombiliti flimkien ma' miglustat tejjeb il-kapaċitajiet fiżiċi tal-pazjenti bil-marda ta' Pompe li tfeġġ tard. L-istudju ħares lejn il-bidliet fid-distanza li l-pazjenti setgħu jimxu qabel u wara t-trattament. Bħala medja, il-pazjenti ttrattati b'Pombiliti u miglustat għal sena setgħu jimxu 20 metru aktar f'6 minuti milli setgħu qabel it-trattament.

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Pombiliti?

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Pombiliti (li jistgħu jaffettwaw sa persuna 1 minn kull 10) huma tertir, sturdament, fwawar, ngħas, skumdità fis-sider, sogħla, nefha fis-sit tal-infużjoni u wġiġħ.

Effetti sekondarji serji (li jistgħu jaffettwaw sa persuna 1 minn kull 50) huma raxx bil-ħakk, reazzjonijiet allergiċi serji, deni, sturdament, diffikultà fit-teħid tan-nifs, nefha fil-gerżuma, tħarħir u pressjoni tad-demm baxxa.

Pombiliti ma għandux jintuża f'persuni li kellhom reazzjonijiet allergiċi ta' theddida għall-ħajja għas-sustanza attiva jew għal kwalunkwe sustanza oħra tal-medicina. Lanqas ma għandu jintuża f'persuni li ma jistax jieħdu miglustat.

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Għaliex Pombiliti ġie awtorizzat fl-UE?

Il-marda ta' Pompe hija marda rari u debilitanti, u l-pazjenti jkollhom problemi tal-qalb u respiratorji ta' theddida għall-ħajja. L-istudji juru li, meta jingħata f'kombinazzjoni ma' miglustat, Pombiliti huwa effettiv biex itejjeb jew jistabbilizza l-kapaċitajiet fiżiċi ta' pazjenti bil-marda ta' Pompe li tfeġġ tard. L-effetti sekondarji ta' Pombiliti, li huma fil-biċċa l-kbira ħfief sa moderati, huma kkunsidrati maniġġabbli. Għaldaqstant, l-Aġenzija Ewropea għall-Medicini ddecidiet li l-benefiċċji ta' Pombiliti huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

X'miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Pombiliti?

Il-kumpanija li tqiegħed Pombiliti fis-suq ser tipprovdi materjal edukattiv dwar infużjoni fid-dar lill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa li huma mistennija jippreskrivu, jqassmu jew jużaw Pombiliti. Huma maħsuba biex jipprovdu gwida dwar kif Pombiliti u miglustat għandhom jingħataw lill-pazjenti u kif għandhom jiġu ġestiti r-riskji relatati mal-infużjoni, bħal reazzjonijiet allergiċi. Il-pazjenti se jingħataw ukoll gwida dwar l-infużjoni fid-dar u djarju tal-infużjoni biex jgħinu jagħrfu u jirrapportaw ir-reazzjonijiet għall-infużjoni.

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi wkoll ir-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Pombiliti.

Bħal fil-każ tal-medicini kollha, id-data dwar l-użu ta' Pombiliti flimkien ma' miglustat hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji ssuspettati rrapportati b'Pombiliti huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tipproteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Pombiliti

Aktar informazzjoni dwar Pombiliti tinstab fis-sit web tal-Aġenzija:

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