



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pombiliti (*cipaglucosidase alfa*)

Een overzicht van Pombiliti en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Pombiliti en wanneer wordt het voorgeschreven?

Pombiliti is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van volwassenen met laat verworven ziekte van Pompe (glycogeenstapelingsziekte type II of zure-maltasedeficiëntie), een erfelijke aandoening die ademhalingsmoeilijkheden en spierzwakte veroorzaakt. Pombiliti wordt gebruikt in combinatie met een ander geneesmiddel, miglustat.

Pombiliti bevat de werkzame stof cipaglucosidase alfa.

Hoe wordt Pombiliti gebruikt?

Pombiliti wordt om de week toegediend via infusie (indruppeling) in een ader. De infusie begint één uur na inname van miglustat en duurt vier uur. Pombiliti kan thuis worden toegediend aan patiënten die de infusies goed verdragen.

Het geneesmiddel is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet onder toezicht staan van een arts die ervaring heeft met de behandeling van patiënten met de ziekte van Pompe of soortgelijke aandoeningen.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Pombiliti.

Hoe werkt Pombiliti?

Patiënten met de ziekte van Pompe hebben een tekort aan het enzym zure alfa-glucosidase (ook 'zure maltase' genoemd), dat een belangrijke rol speelt bij het afbreken van glycogeen (een complexe, in het lichaam opgeslagen suiker) tot glucose (een eenvoudige suiker). Als gevolg daarvan stapelt glycogeen zich op in de spieren, inclusief het hart en het diafragma (de belangrijkste ademhalingspomp onder de longen), wat leidt tot hartproblemen, ademhalingsmoeilijkheden en spierzwakte.



De werkzame stof in Pombiliti, cipaglucoosidase alfa, is een enzym dat op dezelfde manier werkt als het ontbrekende enzym zure maltase (en dus glycogeen afbreekt tot glucose). Het vervangt zure maltase en voorkomt verdere schade als gevolg van de opstapeling van glycogeen. Pombiliti wordt toegediend in combinatie met miglustat, een enzymstabilisator die ervoor zorgt dat cipaglucoosidase alfa werkzaam blijft.

Welke voordelen bleek Pombiliti tijdens de studies te hebben?

Uit een hoofdstudie onder 125 patiënten bleek dat Pombiliti in combinatie met miglustat het fysieke prestatievermogen van patiënten met laat verworven ziekte van Pompe verbeterde. In de studie werd gekeken naar veranderingen in de afstand die patiënten vóór en na de behandeling konden lopen. Patiënten die gedurende één jaar met Pombiliti en miglustat werden behandeld, konden in zes minuten gemiddeld 20 meter meer lopen dan vóór de behandeling.

Welke risico's houdt het gebruik van Pombiliti in?

De meest voorkomende bijwerkingen van Pombiliti (die bij maximaal 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn koude rillingen, duizeligheid, rood worden van het gezicht of lichaam (flushing), slaperigheid, een onaangenaam gevoel op de borst, hoesten, zwelling op de infusieplaats en pijn.

Ernstige bijwerkingen (die bij maximaal 1 op de 50 personen kunnen optreden) zijn jeukende huiduitslag, ernstige allergische reacties, koorts, een flauw gevoel, ademhalingsproblemen, zwelling in de keel, piepende ademhaling en lage bloeddruk.

Pombiliti mag niet worden gebruikt bij personen die eerder levensbedreigende allergische reacties hebben gehad op de werkzame stof of op een van de andere bestanddelen van het geneesmiddel. Het middel mag evenmin worden gebruikt bij mensen die geen miglustat verdragen.

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle bijwerkingen en beperkende voorwaarden.

Waarom is Pombiliti geregistreerd in de EU?

De ziekte van Pompe is een zeldzame en invaliderende ziekte waarbij patiënten levensbedreigende hart- en ademhalingsproblemen hebben. Uit studies is gebleken dat Pombiliti, wanneer het in combinatie met miglustat wordt toegediend, werkzaam is bij het verbeteren of stabiliseren van het fysieke prestatievermogen van patiënten met laat verworven ziekte van Pompe. De bijwerkingen van Pombiliti, die meestal licht tot matig van aard zijn, worden als beheersbaar beschouwd. Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft daarom geconcludeerd dat de voordelen van Pombiliti groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Pombiliti te waarborgen?

Het bedrijf dat Pombiliti in de handel brengt, zal professionele zorgverleners die naar verwachting Pombiliti zullen voorschrijven, verstrekken of gebruiken, voorzien van voorlichtingsmateriaal over thuisinfusies. Dit materiaal is bedoeld als leidraad voor de wijze waarop Pombiliti en miglustat moeten worden toegediend aan de patiënten en hoe risico's in verband met de infusie, zoals allergische reacties, moeten worden beheerst. Patiënten krijgen ook een handleiding voor thuisinfusies en een infusiedagboek om hen te helpen infusiereacties te herkennen en te melden.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Pombiliti en miglustat, zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Pombiliti in combinatie met miglustat continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Pombiliti worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Pombiliti

Meer informatie over Pombiliti is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pombiliti