



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pombiliti(*cipaglukozydaza alfa*)

Przegląd wiedzy na temat leku Pombiliti i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Pombiliti i w jakim celu się go stosuje

Pombiliti jest lekiem stosowanym w leczeniu osób dorosłych z późną postacią choroby Pompego (niedobór kwaśnej α -glukozydazy [GAA]), która jest chorobą dziedziczną objawiającą się trudnościami w oddychaniu i osłabieniem mięśni. Lek Pombiliti stosuje się w skojarzeniu z innym lekiem – miglustatem.

Substancją czynną zawartą w leku Pombiliti jest cipaglukozydaza alfa.

Jak stosować lek Pombiliti

Lek Pombiliti podaje się za pomocą infuzji (kroplówka) co drugi tydzień. Infuzja rozpoczyna się 1 godzinę po przyjęciu miglustatu i trwa 4 godziny. Lek Pombiliti można podawać pacjentom, którzy dobrze tolerują infuzje w ich domu.

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien nadzorować lekarz z doświadczeniem w leczeniu pacjentów z chorobą Pompego lub podobnymi chorobami.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Pombiliti znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Pombiliti

U pacjentów z chorobą Pompego występuje niedobór kwaśnej α -glukozydazy [GAA], który jest istotny przy rozkładaniu glikogenu (złożony cukier przechowywany w organizmie) w glukozę (prosty cukier). W rezultacie glikogen gromadzi się w mięśniach, w tym w sercu i przeponie (główny mięsień oddechowy pod płucami), powodując nieprawidłowe działanie serca, trudności w oddychaniu i osłabienie mięśni.



Substancja czynna leku Pombiliti, cipaglukozydaza alfa, jest enzymem, który działa w taki sam sposób, jak brakujący enzym GAA (tj. rozkłada glikogen na glukozę). Zastępuje on GAA i zapobiega dalszym uszkodzeniom powodowanym przez gromadzenie się glikogenu. Lek Pombiliti podaje się w skojarzeniu z miglustatem, enzymatycznym stabilizatorem, który pomaga cipaglukozydazie alfa zachować zdolność do działania.

Korzyści ze stosowania leku Pombiliti wykazane w badaniach

W badaniu głównym z udziałem 125 pacjentów wykazano, że lek Pombiliti w skojarzeniu z miglustatem poprawiał zdolności fizyczne pacjentów z późną postacią choroby Pompego. W badaniu oceniano zmiany odległości, jakie pacjenci byli w stanie przebyć przed leczeniem i po jego zakończeniu. Pacjenci poddani terapii lekiem Pombiliti i miglustatem przez okres 1 roku byli w stanie przejść w ciągu 6 minut o 20 metrów więcej w porównaniu do okresu przed rozpoczęciem leczenia.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Pombiliti

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Pombiliti (mogące wystąpić u 1 na 10 pacjentów) to: dreszcze, zawroty głowy, zaczerwienienie, senność, dyskomfort w klatce piersiowej, kaszel, obrzęk w miejscu infuzji i ból.

Poważne działania niepożądane (mogące wystąpić u 1 na 50 pacjentów) to: swędząca wysypka, poważne reakcje alergiczne, gorączka, uczucie zasłabnięcia, trudności w oddychaniu, obrzęk gardła, świszczący oddech i niskie ciśnienie krwi.

Leku Pombiliti nie wolno stosować u osób, u których wystąpiły zagrażające życiu reakcje alergiczne na substancję czynną lub na którykolwiek z pozostałych składników leku. Leku nie wolno również stosować u osób, u których istnieje przeciwwskazanie do stosowania miglustatu.

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Podstawy dopuszczenia leku Pombiliti do obrotu w UE

Choroba Pompego jest rzadką i osłabiającą organizm chorobą, w przebiegu której u pacjentów występują zagrażające życiu problemy z sercem i oddychaniem. W badaniach wykazano, że lek Pombiliti podawany w skojarzeniu z miglustatem skutecznie poprawia lub stabilizuje zdolności fizyczne pacjentów z późną postacią choroby Pompego. Działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Pombiliti, które w większości mają nasilenie łagodne do umiarkowanego, uznaje się za możliwe do kontrolowania. Europejska Agencja Leków (EMA) uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Pombiliti przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Pombiliti

Firma, która wprowadza lek Pombiliti do obrotu udostępni materiały edukacyjne dotyczące podawania infuzji w domu personelowi medycznemu, który ma przepisywać, wydawać lub stosować lek Pombiliti. Ich celem jest zapewnienie wytycznych dotyczących sposobu podawania pacjentom leku Pombiliti i miglustatu oraz sposobu postępowania w przypadku ryzyka związanego z wlewem, np. w przypadku reakcji alergicznych. Pacjenci otrzymają także przewodnik dotyczący podawania infuzji w domu oraz dzienniczek infuzji, które pomogą rozpoznać i zgłosić reakcje związane z infuzją.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Pombiliti w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków dane o stosowaniu leku Pombiliti w skojarzeniu z miglustatem są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Pombiliti są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Pombiliti

Dalsze informacje na temat leku Pombiliti znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pombiliti