



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pombiliti (*alfa-cipaglucozidază*)

Prezentare generală a Pombiliti și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Pombiliti și pentru ce se utilizează?

Pombiliti este un medicament utilizat pentru tratarea adulților cu boala Pompe cu debut tardiv [deficit de acid alfa-glucozidază acidă (GAA)], o tulburare ereditară în care pacienții au dificultăți de respirație și slăbiciune musculară. Pombiliti se utilizează în asociere cu alt medicament, miglustat.

Pombiliti conține substanța activă alfa-cipaglucozidază.

Cum se utilizează Pombiliti?

Pombiliti se administrează sub formă de perfuzie intravenoasă (picurare în venă) o dată la două săptămâni. Perfuzia începe la 1 oră după administrarea miglustatului și durează 4 ore. Pombiliti poate fi administrat la domiciliu la pacienții care tolerează bine perfuziile.

Medicamentul se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie supravegheat de un medic cu experiență în tratamentul pacienților cu boala Pompe sau cu boli similare.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Pombiliti, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Pombiliti?

Pacienților cu boala Pompe le lipsește o enzimă numită alfa-glucozidază acidă (GAA) care este importantă pentru descompunerea glicogenului (un zahar complex depozitat în organism) în glucoză (un zahar simplu). Ca urmare, glicogenul se acumulează în mușchi, inclusiv în inimă și în diafragmă (principalul mușchi respirator situat sub plămâni), cauzând probleme cardiace, dificultăți de respirație și slăbiciune musculară.

Substanța activă din Pombiliti, alfa-cipaglucozidaza, este o enzimă care acționează în același mod ca enzima GAA care lipsește (adică descompune glicogenul în glucoză). Aceasta înlocuiește GAA și previne

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



apariția altor leziuni cauzate de acumularea de glicogen. Pombiliti se administrează în asociere cu miglustat, un stabilizator enzimatic care ajută la menținerea funcționalității alfa-cipaglucozidazei.

Ce beneficii a prezentat Pombiliti pe parcursul studiilor?

Un studiu principal care a cuprins 125 de pacienți a demonstrat că Pombiliti în asociere cu miglustat a îmbunătățit capacitățile fizice ale pacienților cu boala Pompe cu debut tardiv. Studiul a analizat modificările distanței pe care pacienții au putut să o parcurgă în mers înainte și după tratament. Pacienții tratați cu Pombiliti și miglustat timp de un an au putut merge, în medie, cu 20 m mai mult în 6 minute decât înainte de tratament.

Care sunt riscurile asociate cu Pombiliti?

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Pombiliti (care pot afecta cel mult 1 persoană din 10) sunt frisoane, amețeli, înroșirea feței, somnolență, disconfort în piept, tuse, umflare la locul perfuziei și durere.

Reacții adverse grave (care pot afecta cel mult 1 persoană din 50) sunt erupții pe piele însoțite de mâncărime, reacții alergice grave, febră, senzație de leșin, dificultăți de respirație, umflarea gâtului, respirație șuierătoare și tensiune arterială mică.

Pombiliti este contraindicat la persoanele care au avut reacții alergice, care pun viața în pericol, la substanța activă sau la oricare dintre celelalte ingrediente ale medicamentului. De asemenea, medicamentul este contraindicat la persoanele care nu pot primi miglustat.

Pentru lista completă de reacții adverse și restricții, citiți prospectul.

De ce a fost autorizat Pombiliti în UE?

Boala Pompe este o boală rară și invalidantă, în care pacienții au probleme cardiace și respiratorii care pun viața în pericol. Studiile arată că, atunci când este administrat în asociere cu miglustat, Pombiliti este eficace în îmbunătățirea sau stabilizarea capacităților fizice ale pacienților cu boală Pompe cu debut tardiv. Reacțiile adverse ale Pombiliti, care sunt în cea mai mare parte ușoare până la moderate, sunt considerate gestionabile terapeutic. Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Pombiliti sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Pombiliti?

Compania care comercializează Pombiliti va furniza materiale educaționale privind perfuzia la domiciliu profesioniștilor din domeniul sănătății care urmează să prescrie, să elibereze sau să utilizeze Pombiliti. Scopul lor este să ofere pacienților îndrumări privind modul în care trebuie administrate Pombiliti și miglustatul și privind modul de gestionare a riscurilor asociate perfuziei, cum ar fi reacțiile alergice. De asemenea, pacienții vor primi un ghid despre perfuzia la domiciliu și un jurnal de perfuzie pentru a-i ajuta să recunoască și să raporteze reacțiile legate de perfuzie.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Pombiliti și miglustatului, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Pombiliti în asociere cu miglustat sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Pombiliti sunt evaluate cu atenție și sunt luate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Pombiliti

Informații suplimentare cu privire la Pombiliti sunt disponibile pe site-ul agenției:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pombiliti