



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pombiliti (*cipaglukozidáza alfa*)

Prehľad o lieku Pombiliti a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Pombiliti a na čo sa používa?

Pombiliti je liek, ktorý sa používa na liečbu dospelých s neskorou formou Pompeho choroby (nedostatkom kyseliny alfa-glukozidázy [GAA]), dedičnou poruchou, pri ktorej majú pacienti ťažkosti s dýchaním a svalovú slabosť. Liek Pombiliti sa používa v kombinácii s iným liekom, miglustatom.

Liek Pombiliti obsahuje liečivo cipaglukozidáza alfa.

Ako sa liek Pombiliti používa?

Liek Pombiliti sa podáva infúziou (na kvapkanie) do žily každý druhý týždeň. Infúzia sa začína jednu hodinu po užití miglustatu a trvá štyri hodiny. Liek Pombiliti sa môže podávať v domácom prostredí

u pacientov, ktorí dobre znášajú infúzie.

Výdaj lieku je viazaný na lekárske predpis a na liečbu má dohliadať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou pacientov s Pompeho chorobou alebo podobnými chorobami.

Viac informácií o používaní lieku Pombiliti si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

Akým spôsobom liek Pombiliti účinkuje?

Pacientom s Pompeho chorobou chýba enzým nazývaný kyselina alfa-glukozidáza (GAA), ktorý je dôležitý pri rozkladaní glykogénu (komplexného cukru uloženého v tele) na glukózu (jednoduchý cukor). V dôsledku toho sa glykogén hromadí vo svaloch vrátane srdca a bránice (hlavný dýchací sval pod pľúcami), čo spôsobuje srdcové problémy, ťažkosti s dýchaním a svalovú slabosť.

Liečivo lieku Pombiliti, cipaglukozidáza alfa, je enzým, ktorý pôsobí rovnakým spôsobom ako chýbajúci enzým GAA (t. j. rozkladanie glykogénu na glukózu). Nahrádza GAA a zabraňuje ďalšiemu poškodeniu spôsobenému hromadením glykogénu. Liek Pombiliti sa podáva v kombinácii s miglustatom, enzýmovým stabilizátorom, ktorý pomáha udržiavať funkčnosť cipaglukozidázy alfa.

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



Aké prínosy lieku Pombiliti boli preukázané v štúdiách?

V hlavnej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 125 pacientov, sa preukázalo, že liek Pombiliti v kombinácii s miglustatom zlepšil fyzické schopnosti pacientov s neskorou formou Pompeho choroby. V štúdii sa skúmali zmeny vo vzdialenosti, ktorú pacienti dokázali prejsť pred liečbou a po nej. Pacienti liečení liekom Pombiliti a miglustatom dokázali za šesť minút prejsť v priemere o 20 metrov viac ako pred liečbou.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Pombiliti?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Pombiliti (ktoré môžu postihnúť až 1 osobu z 10) sú zimnica, závraty, návaly tepla, ospalosť, nepríjemný pocit v hrudníku, kašeľ, opuch v mieste podania infúzie a bolesť.

Závažné vedľajšie účinky (ktoré môžu postihnúť až 1 osobu z 50) sú svrbiaca vyrážka, závažné alergické reakcie, horúčka, pocit slabosti, ťažkosti s dýchaním, opuch v hrdle, sipot a nízky krvný tlak.

Liek Pombiliti nesmú používať osoby, ktoré mali život ohrozujúce alergické reakcie na liečivo alebo na iné zložky lieku. Liek nesmú používať ani osoby, ktoré nemôžu absolvovať liečbu miglustatom.

Zoznam všetkých vedľajších účinkov a obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Pombiliti povolený v EÚ?

Pompeho choroba je zriedkavé a vysilujúce ochorenie, pri ktorom majú pacienti život ohrozujúce srdcové a respiračné problémy. V štúdiách sa preukázalo, že keď sa liek Pombiliti podáva v kombinácii s miglustatom, účinne zlepšuje alebo stabilizuje fyzické schopnosti pacientov s neskorou formou Pompeho choroby. Vedľajšie účinky lieku Pombiliti, ktoré sú väčšinou mierne až stredne závažné, sa považujú za zvládnuteľné. Európska agentúra pre lieky rozhodla, že prínosy lieku Pombiliti sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Pombiliti?

Spoločnosť, ktorá liek Pombiliti uvádza na trh, poskytne vzdelávacie materiály o infúzii v domácom prostredí zdravotníckym pracovníkom, od ktorých sa očakáva, že budú liek Pombiliti predpisovať, vydávať alebo používať. Ich cieľom je poskytnúť usmernenie o tom, ako sa majú lieky Pombiliti a miglustat podávať pacientom a ako riadiť riziká súvisiace s infúziou, ako sú alergické reakcie. Pacienti dostanú aj príručku o infúzii v domácom prostredí a denník na zaznamenávanie infúzneho podávania, ktoré im pomôžu rozpoznať a nahlásiť reakcie súvisiace s infúziou.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Pombiliti boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Pombiliti v kombinácii s miglustatom sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Pombiliti sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Pombiliti

Ďalšie informácie o lieku Pombiliti sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:

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