



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pombiliti (*cipaglukosidas alfa*)

Sammanfattning av Pombiliti och varför det är godkänt inom EU

Vad är Pombiliti och vad används det för?

Pombiliti är ett läkemedel som används för att behandla vuxna med sen debut av Pompes sjukdom (brist på surt alfaglukosidas [GAA]), en ärftlig sjukdom vid vilken patienterna har andningssvårigheter och muskelsvaghet. Pombiliti används i kombination med ett annat läkemedel, nämligen miglustat. Pombiliti innehåller den aktiva substansen cipaglukosidas alfa.

Hur används Pombiliti?

Pombiliti ges genom infusion (dropp) i en ven varannan vecka. Infusionen startar 1 timme efter intag av miglustat och pågår i 4 timmar. Pombiliti kan ges i hemmet till patienter som tolererar infusionerna väl.

Läkemedlet är receptbelagt och behandling ska övervakas av läkare med erfarenhet av att behandla patienter med Pompes sjukdom eller liknande sjukdomar.

För mer information om hur du använder Pombiliti, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Pombiliti?

Patienter med Pompes sjukdom saknar enzymet surt alfaglukosidas (GAA). Detta enzym behövs för att bryta ner glykogen (ett komplext socker som lagras i kroppen) till glukos (ett enkelt socker). Till följd av detta ansamlas glykogen i musklerna, däribland hjärtat och diafragman (den viktigaste andningsmuskeln under lungorna), vilket orsakar hjärtproblem, andningssvårigheter och muskelsvaghet.

Den aktiva substansen i Pombiliti, cipaglukosidas alfa, är ett enzym som verkar på samma sätt som det saknade GAA-enzymet (dvs. det bryter ner glykogen till glukos). Det ersätter GAA och förhindrar ytterligare skador som orsakas av ansamling av glykogen. Pombiliti ges i kombination med miglustat, en enzymstabilisator som hjälper cipaglukosidas alfa att förbli funktionellt.



Vilka fördelar med Pombiliti har visats i studierna?

En huvudstudie på 125 patienter visade att Pombiliti i kombination med miglustat förbättrade den fysiska förmågan hos patienter med sen debut av Pompes sjukdom. I studien tittade man på förändringar i hur långt patienterna kunde gå före och efter behandlingen. I genomsnitt kunde patienter som behandlats med Pombiliti och miglustat under 1 år gå 20 meter längre på 6 minuter än de kunde före behandlingen.

Vilka är riskerna med Pombiliti?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Pombiliti (kan förekomma hos upp till 1 av 10 användare) är frossa, yrsel, rodnad, sömnighet, obehag i bröstet, hosta, svullnad på infusionsstället och smärta.

Allvarliga biverkningar (kan förekomma hos upp till 1 av 50 användare) är kliande hudutslag, allvarliga allergiska reaktioner, feber, matthetskänsla, andningssvårigheter, svullnad i halsen, väsande andning och lågt blodtryck.

Pombiliti får inte ges till personer som har fått livshotande allergiska reaktioner av den aktiva substansen eller något annat innehållsämne i läkemedlet. Det får inte heller ges till personer som inte kan få miglustat.

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner finns i bipacksedeln.

Varför är Pombiliti godkänt i EU?

Pompes sjukdom är en sällsynt och funktionsnedsättande sjukdom där patienterna har livshotande hjärt- och andningsproblem. Studier visar att Pombiliti som ges i kombination med miglustat är effektivt när det gäller att förbättra eller stabilisera den fysiska förmågan hos patienter med sen debut av Pompes sjukdom. Pombilitis biverkningar, som oftast är lindriga till måttliga, anses vara hanterbara. Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Pombiliti är större än riskerna och att Pombiliti kan godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Pombiliti?

Företaget som marknadsför Pombiliti kommer att tillhandahålla utbildningsmaterial om infusion i hemmet till hälso- och sjukvårdspersonal som förväntas förskriva, lämna ut eller använda Pombiliti. Syftet med detta material är att ge vägledning om hur Pombiliti och miglustat ska ges till patienterna och hur riskerna i samband med infusionen ska hanteras, t.ex. allergiska reaktioner. Patienterna kommer också att få en vägledning om infusion i hemmet och en infusionskalender för att göra det enklare att känna igen och rapportera infusionsreaktioner.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Pombiliti och miglustat har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Pombiliti i kombination med miglustat kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Pombiliti utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienter.

Mer information om Pombiliti

Mer information om Pombiliti finns på EMA:s webbplats:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pombiliti