



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pombiliti (*cipaglukosidasa alfa*)

Přehled pro přípravek Pombiliti a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Pombiliti a k čemu se používá?

Pombiliti je léčivý přípravek, který se používá k léčbě dospělých s pozdní formou Pompeho nemoci (deficitem kyselé α -glukosidázy (GAA)), což je dědičné onemocnění provázené potížemi s dýcháním a svalovou slabostí. Přípravek Pombiliti se používá v kombinaci s jiným léčivem miglustatem.

Přípravek Pombiliti obsahuje léčivou látku cipaglukosidasa alfa.

Jak se přípravek Pombiliti používá?

Přípravek Pombiliti se podává infuzí (kapáním) do žíly jednou za dva týdny. Infuze se zahajuje 1 hodinu po užití miglustatu a trvá 4 hodiny. U pacientů, kteří infuze dobře snášejí, může být přípravek Pombiliti podáván v domácím prostředí.

Výdej léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis. Léčba by měla být prováděna lékařem se zkušenostmi s léčbou pacientů s Pompeho nemocí nebo podobnými onemocněními.

Více informací o používání přípravku Pombiliti naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Jak přípravek Pombiliti působí?

Pacientům s Pompeho nemocí chybí enzym zvaný kyselá α -glukosidáza (GAA), který je důležitý pro štěpení glykogenu (složitého cukru uloženého v těle) na glukózu (jednoduchý cukr). V důsledku toho se glykogen hromadí ve svalech, včetně srdečního svalu a bránice (hlavního dýchacího svalu pod plícemi), což způsobuje srdeční problémy, potíže s dýcháním a svalovou slabost.

Léčivá látka v přípravku Pombiliti, cipaglukosidasa alfa, je enzym, který působí stejným způsobem jako chybějící enzym GAA (tj. štěpí glykogen na glukózu). Nahrazuje GAA a zabraňuje dalšímu poškození způsobenému hromaděním glykogenu. Přípravek Pombiliti se podává v kombinaci s miglustatem, což je stabilizátor enzymů, který napomáhá cipaglukosidase alfa zůstat funkční.

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



Jaké přínosy přípravku Pombiliti byly prokázány v průběhu studií?

Hlavní studie, do které bylo zařazeno 125 pacientů, prokázala, že přípravek Pombiliti v kombinaci s miglustatem zlepšuje fyzické schopnosti pacientů s pozdní formou Pompeho nemoci. Studie zkoumala změny ve vzdálenosti, kterou pacienti dokázali ujít před léčbou a po ní. Pacienti léčení přípravkem Pombiliti v kombinaci s miglustatem po dobu jednoho roku dokázali ujít za 6 minut v průměru o 20 metrů více než před léčbou.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Pombiliti?

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Pombiliti (které mohou postihnout až 1 osobu z 10) jsou zimnice, závrať, zrudnutí, ospalost, hrudní diskomfort (nepříjemné pocity v oblasti hrudníku), kašel, zduření v místě infuze a bolest.

Závažnými nežádoucími účinky (které mohou postihnout až 1 osobu z 50) jsou svědivá vyrážka, závažné alergické reakce, horečka, pocit malátnosti, potíže s dýcháním, otok hrdla, sípání a nízký krevní tlak.

Přípravek Pombiliti nesmí používat osoby, u kterých se vyskytly život ohrožující alergické reakce na léčivou látku nebo na kteroukoli další složku tohoto přípravku. Nesmí jej používat ani osoby, které nemohou užívat miglustat.

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení je uveden v příbalové informaci.

Na základě čeho byl přípravek Pombiliti registrován v EU?

Pompeho nemoc je vzácné a vysilující onemocnění, při němž pacienti trpí život ohrožujícími srdečními a respiračními potížemi. Ze studií vyplývá, že přípravek Pombiliti je při podávání v kombinaci s miglustatem účinný v rámci zlepšování nebo stabilizace fyzických schopností pacientů s pozdní formou Pompeho nemoci. Nežádoucí účinky přípravku Pombiliti, které jsou většinou mírné až středně závažné, jsou považovány za zvladatelné. Evropská agentura pro léčivé přípravky proto rozhodla, že přínosy přípravku Pombiliti převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Pombiliti?

Společnost, která přípravek Pombiliti dodává na trh, poskytne zdravotnickým pracovníkům, u nichž se očekává, že budou tento přípravek předepisovat, vydávat nebo používat, edukační materiály pro podávání infuzí v domácím prostředí. Jejich cílem je poskytnout pokyny, jak by měl být přípravek Pombiliti v kombinaci s miglustatem podáván pacientům a jak zvládat rizika související s infuzí, jako jsou alergické reakce. Také pacienti obdrží příručku k podávání infuzí v domácím prostředí a deník pro záznam infuzí, který jim pomůže rozpoznat a hlásit reakce související s infuzí.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla rovněž zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Pombiliti v kombinaci s miglustatem, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Pombiliti v kombinaci s miglustatem průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Pombiliti jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Pombiliti

Další informace o přípravku Pombiliti jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pombiliti.