



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pombiliti (σιπαγλυκοσιδάση άλφα)

Ανασκόπηση του Pombiliti και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Pombiliti και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Pombiliti είναι φάρμακο που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ενηλίκων με όψιμης έναρξης νόσο του Pompe (ανεπάρκεια της όξινης α-γλυκοσιδάσης [GAA]), μια κληρονομική διαταραχή κατά την οποία οι ασθενείς αντιμετωπίζουν δυσκολία στην αναπνοή και μυϊκή αδυναμία. Το Pombiliti χρησιμοποιείται σε συνδυασμό με ένα άλλο φάρμακο, τη μιγλουστάτη.

Το Pombiliti περιέχει τη δραστική ουσία σιπαγλυκοσιδάση άλφα.

Πώς χρησιμοποιείται το Pombiliti;

Το Pombiliti χορηγείται με ενδοφλέβια έγχυση (στάγδην χορήγηση) κάθε δεύτερη εβδομάδα. Η έγχυση ξεκινά 1 ώρα μετά τη λήψη της μιγλουστάτης και διαρκεί 4 ώρες. Στους ασθενείς που ανέχονται καλά τις εγχύσεις, η θεραπεία με Pombiliti μπορεί να χορηγείται στο σπίτι.

Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή και ο ασθενής θα πρέπει να λαμβάνει τη θεραπεία υπό την επίβλεψη γιατρού με εμπειρία στη διαχείριση ασθενών με νόσο του Pompe ή παρόμοιες νόσους.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Pombiliti, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Πώς δρα το Pombiliti;

Οι ασθενείς που πάσχουν από τη νόσο του Pompe παρουσιάζουν έλλειψη ενός ενζύμου που ονομάζεται όξινη α-γλυκοσιδάση (GAA), το οποίο παίζει σημαντικό ρόλο στη διάσπαση του γλυκογόνου (ένα σύμπλοκο σάκχαρο που αποθηκεύεται στον οργανισμό) σε γλυκόζη (ένα απλό σάκχαρο). Ως εκ τούτου, το γλυκογόνο συσσωρεύεται στους μύες, συμπεριλαμβανομένης της καρδιάς και του διαφράγματος (ο κύριος αναπνευστικός μυς κάτω από τους πνεύμονες), προκαλώντας καρδιακά προβλήματα, αναπνευστικές δυσκολίες και μυϊκή αδυναμία.

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



Η δραστική ουσία του Pombiliti, η σιπαγλυκοσιδάση άλφα, είναι ένα ένζυμο που δρα κατά τον ίδιο τρόπο που δρα το ένζυμο GAA που λείπει (δηλαδή διασπά το γλυκογόνο σε γλυκόζη). Αντικαθιστά τη GAA και προλαμβάνει περαιτέρω βλάβες που προκαλούνται από τη συσσώρευση γλυκογόνου. Το Pombiliti χορηγείται σε συνδυασμό με μιγλουστάτη, έναν σταθεροποιητή ενζύμων που βοηθά στη διατήρηση της λειτουργικότητας της σιπαγλυκοσιδάσης άλφα.

Ποιο είναι το όφελος του Pombiliti σύμφωνα με τις μελέτες;

Μια βασική μελέτη στην οποία μετείχαν 125 ασθενείς κατέδειξε ότι το Pombiliti σε συνδυασμό με μιγλουστάτη βελτίωσε τις σωματικές ικανότητες των ασθενών με όψιμης έναρξης νόσο του Pompe. Η μελέτη εξέτασε τις αλλαγές στην απόσταση βάρδισης που κατόρθωσαν να διανύσουν οι ασθενείς πριν και μετά τη θεραπεία. Κατά μέσο όρο, οι ασθενείς που έλαβαν θεραπεία με Pombiliti και μιγλουστάτη για 1 έτος κατάφεραν να διανύσουν βαδίζοντας 20 μέτρα περισσότερα σε 6 λεπτά από ό,τι πριν από τη θεραπεία.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Pombiliti;

Στις πιο συχνά αναφερόμενες ανεπιθύμητες ενέργειες του Pombiliti (ενδέχεται να εμφανιστούν σε έως και 1 στους 10 ασθενείς) περιλαμβάνονται ρίγη, ζάλη, έξαψη, υπνηλία, θωρακική δυσφορία, βήχας, οίδημα στο σημείο της έγχυσης και πόνος.

Στις σοβαρές ανεπιθύμητες ενέργειες (ενδέχεται να εμφανιστούν σε έως και 1 στους 50 ασθενείς) περιλαμβάνονται κνηστώδες εξάνθημα, σοβαρές αλλεργικές αντιδράσεις, πυρετός, αίσθημα λιποθυμίας, δυσκολία στην αναπνοή, οίδημα στον φάρυγγα, συριγγμός και χαμηλή αρτηριακή πίεση.

Το Pombiliti δεν πρέπει να χορηγείται σε άτομα που έχουν παρουσιάσει απειλητικές για τη ζωή αλλεργικές αντιδράσεις στη δραστική ουσία ή σε οποιοδήποτε άλλο από τα συστατικά του φαρμάκου. Επίσης, δεν πρέπει να χορηγείται σε άτομα που δεν μπορούν να λάβουν μιγλουστάτη.

Για τον πλήρη κατάλογο των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Pombiliti στην ΕΕ;

Η νόσος του Pompe είναι μια σπάνια ασθένεια που προκαλεί αναπηρία, κατά την οποία οι ασθενείς αντιμετωπίζουν απειλητικά για τη ζωή καρδιακά και αναπνευστικά προβλήματα. Οι μελέτες δείχνουν ότι το Pombiliti, όταν χορηγείται σε συνδυασμό με μιγλουστάτη, είναι αποτελεσματικό στη βελτίωση ή τη σταθεροποίηση των σωματικών ικανοτήτων των ασθενών με όψιμη έναρξη της νόσου του Pompe. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες του Pombiliti, οι οποίες είναι ως επί το πλείστον ήπιες έως μέτριες, θεωρούνται διαχειρίσιμες. Συνεπώς, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι τα οφέλη του Pombiliti υπερτερούν των διαπιστωθέντων κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση της χρήσης του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Pombiliti;

Η εταιρεία που εμπορεύεται το Pombiliti θα παράσχει εκπαιδευτικό υλικό σχετικά με την κατ' οίκον έγχυση σε επαγγελματίες του τομέα της υγείας που πρόκειται να συνταγογραφούν, να διαθέτουν ή να χρησιμοποιούν το Pombiliti. Σκοπός του υλικού αυτού είναι να παράσχει καθοδήγηση σχετικά με τον τρόπο χορήγησης του Pombiliti και της μιγλουστάτης στους ασθενείς και τον τρόπο διαχείρισης των κινδύνων που σχετίζονται με την έγχυση, όπως οι αλλεργικές αντιδράσεις. Στους ασθενείς θα

παρασχεθεί επίσης οδηγός σχετικά με την έγχυση στο σπίτι, καθώς και ημερολόγιο εγχύσεων, ώστε να διευκολυνθεί η αναγνώριση και η αναφορά τυχόν αντιδράσεων στην έγχυση.

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Pombiliti.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Pombiliti σε συνδυασμό με μιγλουστάτη τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Pombiliti θα αξιολογούνται προσεκτικά και θα λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Pombiliti

Περισσότερες πληροφορίες για το Pombiliti διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pombiliti