



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Pombiliti (alfatsipaglükosidaas)

Ülevaade ravimist Pombiliti ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

### Mis on Pombiliti ja milleks seda kasutatakse?

Pombiliti on ravim, mida kasutatakse hilise algusega Pompe tõve (happelise alfaglükosidaasi (GAA) vaegus) täiskasvanute raviks. See on pärilik haigus, mille korral patsientidel esineb hingamisraskusi ja lihassenõrkust. Pombilitit kasutatakse koos teise ravimi miglustaadiga.

Pombiliti sisaldab toimeainena alfatsipaglükosidaasi.

### Kuidas Pombilitit kasutatakse?

Pombilitit manustatakse veeniinfusioonina igal teisel nädalal. Infusioon algab 1 tund pärast miglustaadi võtmist ja kestab 4 tundi. Pombilitit tohib manustada kodus patsientidele, kes taluvad infusiooni hästi.

Pombiliti on retseptiravim. Ravi peab toimuma Pompe tõve või sarnaste haigustega patsientide ravis kogenud arsti järelevalve all.

Lisateavet Pombiliti kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

### Kuidas Pombiliti toimib?

Pompe tõvega patsientidel puudub ensüüm, mida nimetatakse happeliseks alfaglükosidaasiks (GAA) ja mis on oluline glükogeeni (organismis säilitatav kompleksne suhkur) lagundamisel glükoosiks (lihtsuhkur). Selle tulemusena ladestub glükogeen lihastesse, sh südamesse ja diafragmasse (kopsude all paiknev peamine hingamislihas), põhjustades südameprobleeme, hingamisraskusi ja lihassenõrkust.

Pombiliti toimeaine alfatsipaglükosidaas on ensüüm, mis toimib samal viisil kui puuduv GAA-ensüüm (st lagundab glükogeeni glükoosiks). Pombiliti asendab GAA-ensüümi ja hoiab ära edasised kahjustused, mida põhjustab glükogeeni ladestumine. Pombilitit manustatakse koos miglustaadiga, mis on ensüümi stabilisaator, mis aitab alfatsipaglükosidaasil toimida.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

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

An agency of the European Union



## **Milles seisneb uuringute põhjal Pombiliti kasulikkus?**

125 patsienti hõlmanud põhiuuring tõendas, et koos miglustaadiga manustatud Pombiliti parandas hilise algusega Pompe tõvega patsientide füüsilist võimekust. Uuringus vaadeldi patsientide kõndimiskauguse muutusi enne ja pärast ravi. Keskmiselt suutsid 1 aasta jooksul Pombilitit ja miglustaati saanud patsiendid kõndida 6 minutiga 20 m rohkem kui enne ravi.

## **Mis riskid Pombilitiga kaasnevad?**

Pombiliti kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda kuni 1 patsiendil 10st) on külmavärinad, peapööritus, õhetus, unisus, ebamugavustunne rindkeres, kõha, infusioonikoha turse ja valu.

Rasked kõrvalnähud (võivad esineda kuni 1 patsiendil 50st) on sügelev lööve, rasked allergilised reaktsioonid, palavik, minestustunne, hingamisraskused, kõriturse, vilistav hingamine ja madal vererõhk.

Pombilitit ei tohi kasutada patsiendid, kellel on olnud eluohtlikud allergilised reaktsioonid toimeaine või ravimi mis tahes muu koostisaine suhtes. Pombilitit ei tohi kasutada ka patsiendid, kes ei talu miglustaati.

Kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

## **Miks Pombiliti ELis heaks kiideti?**

Pompe tõbi on haruldane ja invaliidistav haigus, mille korral on patsientidel eluohtlikud südame- ja hingamisprobleemid. Uuringud tõendavad, et koos miglustaadiga manustatuna on Pombiliti efektiivne hilise algusega Pompe tõvega patsientide füüsilise võimekuse parandamisel või stabiliseerimisel. Pombiliti kõrvalnähte, mis on enamasti kerged kuni mõõdukad, peetakse hallatavaks. Euroopa Raviamet otsustas, et Pombiliti kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

## **Mis meetmed võetakse, et tagada Pombiliti ohutu ja efektiivne kasutamine?**

Pombilitit turustav ettevõtte annab koduse infusiooni kohta teabematerjali tervishoiutöötajatele, kes eeldatavalt hakkavad Pombilitit määrama, väljastama või kasutama. Teabematerjali eesmärk on anda juhised, kuidas Pombilitit ja miglustaati patsientidele manustada ning kuidas ohjata infusiooniga seotud riske, näiteks allergilisi reaktsioone. Patsientidele antakse ka juhend koduse infusiooni kohta ja infusioonipäevik, mis aitab ära tunda infusioonireaktsioone ja neist teatada.

Pombiliti ja miglustaadi ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on samuti lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite puhul, tehakse Pombiliti ja miglustaadi koos kasutamise kohta pidevat järelvalvet. Pombiliti kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

## **Muu teave Pombiliti kohta**

Lisateave Pombiliti kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pombiliti](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pombiliti)