



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pombiliti (*cipaglukozidaza alfa*)

Pregled informacija o lijeku Pombiliti i zašto je odobren u EU-u

Što je Pombiliti i za što se koristi?

Pombiliti je lijek koji se koristi za liječenje odraslih osoba s Pompeovom bolešću (nedostatkom enzima alfa-glukozidaze [GAA]) kasnog nastupa, nasljednim poremećajem kod kojeg bolesnici imaju poteškoće s disanjem i slabost mišića. Pombiliti se koristi u kombinaciji s drugim lijekom, miglustatom.

Pombiliti sadrži djelatnu tvar cipaglukozidazu alfa.

Kako se Pombiliti primjenjuje?

Pombiliti se daje infuzijom (ukapavanjem) u venu svaki drugi tjedan. Infuzija započinje jedan sat nakon uzimanja miglustata i traje četiri sata. Pombiliti se može primjenjivati kod kuće u bolesnika koji dobro podnose infuzije.

Lijek se izdaje samo na recept, a liječenje treba nadzirati liječnik s iskustvom u liječenju bolesnika oboljelih od Pompeove bolesti ili sličnih bolesti.

Za više informacija o primjeni lijeka Pombiliti pročitajte uputu o lijeku odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

Kako djeluje Pombiliti?

Bolesnicima s Pompeovom bolešću nedostaje enzim naziva kisela alfa-glukozidaza (GAA), koji je važan za razgradnju glikogena (složenog šećera pohranjenog u tijelu) u glukozu (jednostavni šećer). Zbog toga se glikogen nakuplja u mišićima, uključujući srce i ošit (glavni mišić za disanje koji se nalazi ispod pluća), što uzrokuje probleme sa srcem, poteškoće s disanjem i slabost mišića.

Djelatna tvar lijeka Pombiliti, cipaglukozidaza alfa, enzim je koji djeluje na isti način kao enzim GAA koji nedostaje (tj. razgrađuje glikogen u glukozu). Zamjenjuje enzim GAA i sprječava daljnja oštećenja uzrokovana nakupljanjem glikogena. Pombiliti se daje u kombinaciji s miglustatom, stabilizatorom enzima koji pomaže održavati funkcionalnost cipaglukozidaze 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



Koje su koristi od lijeka Pombiliti utvrđene u ispitivanjima?

Glavno ispitivanje koje je obuhvatilo 125 bolesnika pokazalo je da je lijek Pombiliti u kombinaciji s miglustatom poboljšao fizičke sposobnosti bolesnika s Pompeovom bolešću kasnog nastupa. U ispitivanju su promatrane promjene udaljenosti koju su bolesnici mogli prehodati prije i nakon liječenja. Bolesnici koji su primali lijek Pombiliti s miglustatom tijekom godinu dana u prosjeku su uspjeli u šest minuta prehodati 20 metara više nego prije liječenja.

Koji su rizici povezani s lijekom Pombiliti?

Najčešće nuspojave lijeka Pombiliti (koje se mogu javiti u manje od 1 na 10 osoba) jesu zimica, omaglica, navale crvenila, pospanost, nelagoda u prsnom košu, kašalj, oticanje na mjestu primjene infuzije i bol.

Ozbiljne nuspojave (koje se mogu javiti u manje od 1 na 50 osoba) jesu osip praćen svrbežom, ozbiljne alergijske reakcije, vrućica, osjećaj slabosti, otežano disanje, oticanje grla, piskanje pri disanju i nizak krvni tlak.

Pombiliti se ne smije primjenjivati u osoba koje su imale po život opasne alergijske reakcije na djelatnu tvar ili bilo koji drugi sastojak lijeka. Ne smije se davati ni osobama koje ne mogu primiti miglustat.

Potpuni popis nuspojava i ograničenja potražite u uputi o lijeku.

Zašto je lijek Pombiliti odobren u EU-u?

Pompeova bolest rijetka je i onesposobljavajuća bolest, a bolesnici imaju po život opasne probleme sa srcem i dišnim organima. Ispitivanja pokazuju da je lijek Pombiliti, kada se primjenjuje u kombinaciji s miglustatom, učinkovit u pogledu poboljšanja ili stabilizacije fizičkih sposobnosti bolesnika s Pompeovom bolešću kasnog nastupa. Budući da su nuspojave lijeka Pombiliti uglavnom blage do umjerene, smatra se da ih je moguće kontrolirati. Europska agencija za lijekove stoga je zaključila da koristi od lijeka Pombiliti nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Pombiliti?

Tvrtka koja lijek Pombiliti stavlja u promet dostavit će materijale za obuku o kućnoj infuziji zdravstvenim radnicima za koje se očekuje da će propisivati, izdavati ili primjenjivati taj lijek. Namjera je pružiti smjernice o tome kako se lijek Pombiliti i miglustat trebaju davati bolesnicima i kako upravljati rizicima povezanim s infuzijom, kao što su alergijske reakcije. Bolesnicima će se također dostaviti vodič o kućnoj infuziji i dnevnik infuzije kako bi mogli lakše prepoznati i prijaviti reakcije na infuziju.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Pombiliti također se nalaze u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Pombiliti u kombinaciji s miglustatom kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave prijavljene za lijek Pombiliti pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Pombiliti

Više informacija o lijeku Pombiliti dostupno je na internetskim stranicama Agencije:

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