



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Pombiliti (*alfa-cipaglükózidáz*)

A Pombiliti-re vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

### **Milyen típusú gyógyszer a Pombiliti és milyen betegségek esetén alkalmazható?**

A Pombiliti a késői megjelenésű Pompe-kórban (a savas  $\alpha$ -glükózidáz [GAA] hiánya) szenvedő felnőttek kezelésére alkalmazott gyógyszer. Ez egy örökletes betegség, amely a betegeknél légzési nehézségeket és izomgyengeséget okoz. A Pombiliti-t egy másik gyógyszerrel, a miglusztáttal kombinációban alkalmazzák.

A Pombiliti hatóanyaga az alfa-cipaglükózidáz.

### **Hogyan kell alkalmazni a Pombiliti-t?**

A Pombiliti-t kéthetente, vénás infúzió formájában kell beadni. Az infúziót a miglusztát bevétele után 1 órával kell elindítani, és 4 órán át tart. A Pombiliti otthon is adható olyan betegeknek, akik jól tolerálják az infúziókat.

A gyógyszer csak receptre kapható, és a kezelést a Pompe-kórban vagy hasonló betegségben szenvedő betegek kezelésében tapasztalattal rendelkező orvosnak kell felügyelnie.

A Pombiliti alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

### **Hogyan fejti ki hatását a Pombiliti?**

A Pompe-kórban szenvedő betegeknél hiányzik a savas  $\alpha$ -glükózidáz (GAA) nevű enzim, amely fontos a glikogénnek (a szervezetben tárolt összetett cukor) glükózzra (egyszerű cukor) történő lebontásában. Ennek eredményeként a glikogén felhalmozódik az izmokban – így a szívben és a rekeszizomban (a tüdő alatti fő légzőizom) is –, ami szívproblémákat, légzési nehézségeket és izomgyengeséget okoz.

---

**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



A Pombiliti hatóanyaga, az alfa-cipaglükozidáz, egy enzim, amely ugyanúgy fejt ki hatását, mint a hiányzó GAA enzim (azaz a glikogént lebontja glükózra). Pótolja a GAA-t, és megelőzi a glikogén felhalmozódása által okozott további károsodást. A Pombiliti-t miglusztáttal, egy enzimstabilizátorral kombinációban alkalmazzák, amely segíti az alfa-cipaglükozidáz működésének a fenntartását.

## **Milyen előnyei voltak a Pombiliti alkalmazásának a vizsgálatok során?**

Egy 125 beteg részvételével végzett fő vizsgálat igazolta, hogy a miglusztáttal kombinációban adott Pombiliti javította a késői megjelenésű Pompe-kórban szenvedő betegek fizikai képességeit. A vizsgálatban azt tanulmányozták, hogy hogyan változott az a távolság, amelyet a betegek a kezelés előtt, illetve után képesek voltak lesétálni. A Pombiliti-vel és miglusztáttal 1 éven át kezelt betegek 6 perc alatt átlagosan 20 méterrel többet tudtak megtenni, mint a kezelés előtt.

## **Milyen kockázatokkal jár a Pombiliti alkalmazása?**

A Pombiliti leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet) a hidegrázás, a szédülés, a kivörösödés, az aluszékonyosság, a mellkasi diszkomfortérzés, a köhögés, duzzanat az infúzió beadásának helyén és a fájdalom.

A súlyos mellékhatások (50 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet) a viszkető bőrkiütés, a súlyos allergiás reakciók, a láz, az ájulásérzés, a légzési nehézség, a torok duzzanata, a sípoló légzés és az alacsony vérnyomás.

A Pombiliti nem alkalmazható olyan személyeknél, akiknél életveszélyes allergiás reakció lépett fel a hatóanyaggal vagy a gyógyszer bármely más összetevőjével szemben. A gyógyszer nem alkalmazható olyan személyeknél sem, akik nem szedhetnek miglusztátot.

Az összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

## **Miért engedélyezték a Pombiliti forgalomba hozatalát az EU-ban?**

A Pompe-kór egy ritka és a szervezetet legyengítő betegség, amely életveszélyes szív- és légzőszervi problémákat okoz a betegeknél. A vizsgálatok azt mutatták, hogy a miglusztáttal kombinációban alkalmazott Pombiliti hatékonyan javítja vagy stabilizálja a késői megjelenésű Pompe-kórban szenvedő betegek fizikai képességeit. A Pombiliti mellékhatásait, amelyek többnyire enyhék vagy közepesen súlyosak, kezelhetőnek tekintik. Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Pombiliti alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

## **Milyen intézkedések vannak folyamatban a Pombiliti biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?**

A Pombiliti-t forgalmazó vállalat oktatóanyagokat fog biztosítani az infúzió otthoni alkalmazásáról azoknak az egészségügyi szakembereknek a számára, akik a Pombiliti-t várhatóan felírják, kiadják vagy alkalmazzák. Az oktatóanyagok célja, hogy útmutatást nyújtsanak a Pombiliti és a miglusztát betegeknek történő beadásához, valamint az infúzióval kapcsolatos kockázatok, például az allergiás reakciók kezeléséhez. A betegek is kapnak egy útmutatót az infúzió otthoni alkalmazásával kapcsolatban, valamint egy infúziós naplót, amely segítséget nyújt az infúzióra adott reakciók felismeréséhez és bejelentéséhez.

A Pombiliti biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Pombiliti miglusztáttal kombinációban történő alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Pombiliti alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

## **A Pombiliti-vel kapcsolatos egyéb információ**

A Pombiliti-vel kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pombiliti](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pombiliti)