



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Pombiliti (*cipaglicosidasi alfa*)

Sintesi di Pombiliti e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

### Cos'è Pombiliti e per cosa si usa?

Pombiliti è un medicinale usato per il trattamento di adulti con malattia di Pompe a esordio tardivo [deficit acido alfa-glucosidasi (GAA)], una patologia ereditaria in cui i pazienti lamentano difficoltà respiratorie e debolezza muscolare. Pombiliti è usato in associazione a un altro medicinale, miglustat. Pombiliti contiene il principio attivo cipaglicosidasi alfa.

### Come si usa Pombiliti?

Pombiliti è somministrato per infusione (flebo) in vena ogni due settimane. L'infusione inizia 1 ora dopo l'assunzione di miglustat e dura 4 ore. Pombiliti può essere somministrato a casa nei pazienti che hanno dimostrato buona tolleranza alle infusioni.

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere supervisionato da un medico esperto nel trattamento di pazienti affetti dalla malattia di Pompe o da affezioni analoghe.

Per maggiori informazioni sull'uso di Pombiliti, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

### Come agisce Pombiliti?

I pazienti affetti dalla malattia di Pompe sono privi di un enzima denominato alfa-glucosidasi acida (GAA), che è importante per scomporre il glicogeno (uno zucchero complesso depositato nell'organismo) in glucosio (uno zucchero semplice). Di conseguenza, il glicogeno si accumula nei muscoli, compreso il cuore e il diaframma (il principale muscolo respiratorio situato sotto i polmoni), causando problemi cardiaci, difficoltà respiratorie e debolezza muscolare.

Il principio attivo di Pombiliti, cipaglicosidasi alfa, è un enzima che agisce allo stesso modo dell'enzima GAA mancante (ossia scindendo il glicogeno in glucosio). Cipaglicosidasi alfa sostituisce la GAA e

---

**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



previene ulteriori danni causati dall'accumulo di glicogeno. Pombiliti è somministrato in associazione a miglustat, uno stabilizzatore enzimatico che aiuta cipaglicosidasi alfa a rimanere funzionale.

## **Quali benefici di Pombiliti sono stati evidenziati negli studi?**

Uno studio principale condotto su 125 pazienti ha evidenziato che Pombiliti in associazione a miglustat migliorava le capacità fisiche dei pazienti affetti da malattia di Pompe a esordio tardivo. Lo studio ha esaminato le variazioni nella distanza che i pazienti erano in grado di percorrere a piedi prima e dopo il trattamento. In media, i pazienti trattati con Pombiliti e miglustat per 1 anno sono stati in grado di percorrere a piedi in 6 minuti 20 metri in più rispetto a quanto potevano fare prima del trattamento.

## **Quali sono i rischi associati a Pombiliti?**

Gli effetti indesiderati più comuni di Pombiliti (che possono riguardare fino a 1 persona su 10) sono brividi, capogiro, rossore, sonnolenza, fastidio al torace, tosse, tumefazione nel sito di infusione e dolore.

Effetti indesiderati gravi (che possono riguardare fino a 1 persona su 50) sono esantema pruriginoso, gravi reazioni allergiche, febbre, sensazione di mancamento, respirazione difficoltosa, gonfiore della gola, respiro sibilante e pressione arteriosa bassa.

Pombiliti non deve essere usato in soggetti che hanno avuto reazioni allergiche potenzialmente letali al principio attivo o a uno qualsiasi degli altri ingredienti del medicinale. Inoltre, non deve essere utilizzato in soggetti che non possono assumere miglustat.

Per l'elenco completo degli effetti indesiderati e delle limitazioni, vedere il foglio illustrativo.

## **Perché Pombiliti è autorizzato nell'UE?**

La malattia di Pompe è una malattia rara e debilitante, in cui i pazienti presentano problemi cardiaci e respiratori potenzialmente letali. Gli studi dimostrano che, se somministrato in associazione a miglustat, Pombiliti è efficace nel migliorare o stabilizzare le capacità fisiche dei pazienti con malattia di Pompe a esordio tardivo. Gli effetti indesiderati di Pombiliti, per lo più da lievi a moderati, sono considerati gestibili. Pertanto l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Pombiliti sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

## **Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Pombiliti?**

La ditta che commercializza Pombiliti fornirà materiale informativo sull'infusione a domicilio agli operatori sanitari che si prevede prescriveranno, dispenseranno o utilizzeranno Pombiliti. Tale materiale ha lo scopo di fornire indicazioni su come somministrare Pombiliti e miglustat ai pazienti e su come gestire i rischi correlati all'infusione, quali le reazioni allergiche. Ai pazienti saranno inoltre fornite una guida sull'infusione a domicilio e un registro delle infusioni quale ausilio per riconoscere e segnalare le reazioni all'infusione.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Pombiliti sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Pombiliti in associazione a miglustat sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Pombiliti sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

## **Altre informazioni su Pombiliti**

Ulteriori informazioni su Pombiliti sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pombiliti](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pombiliti).