



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pombiliti (*cipagliukozidazė alfa*)

Pombiliti apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Pombiliti ir kam jis vartojamas?

Pombiliti – tai vaistas, kuriuo gydomi suaugusieji, sergantys vėlyvosios stadijos Pompe liga (rūgštinės alfa-gliukozidazės (GAA) trūkumu); tai paveldimas sutrikimas, dėl kurio pacientams pasireiškia kvėpavimo sunkumai ir raumenų silpnumas. Pombiliti vartojamas kartu su kitu vaistu miglustatu.

Pombiliti sudėtyje yra veikliosios medžiagos cipagliukozidazės alfa.

Kaip vartoti Pombiliti?

Pombiliti vartojamas infuzijos būdu (lašinamas į veną) kas antrą savaitę. Infuzija pradedama praėjus 1 valandai po miglustato vartojimo ir trunka 4 valandas. Pacientams, kurie gerai toleruoja infuzijas, Pombiliti galima sulašinti namuose.

Vaisto galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą turi prižiūrėti gydytojas, turintis Pompe liga ar panašiomis ligomis sergančių pacientų gydymo patirties.

Daugiau informacijos apie Pombiliti vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Pombiliti?

Pompe liga sergantiems pacientams trūksta fermento rūgštinės alfa-gliukozidazės (GAA), kurio reikia glikogenui (organizme sukauptam sudėtiniam cukrui) suskaidyti į gliukozę (paprastą cukrų). Dėl to glikogenas kaupiasi raumenyse, įskaitant širdį ir diafragmą (pagrindinį po plaučiais esantį kvėpavimo raumenį), taip sukeldamas širdies veiklos sutrikimus, kvėpavimo sunkumus ir raumenų silpnumą.

Veiklioji Pombiliti medžiaga cipagliukozidazė alfa yra fermentas, kuris veikia taip pat kaip trūkstamas GAA fermentas (t. y. skaido glikogeną į gliukozę). Jis pakeičia GAA ir užkerta kelią tolesniems pažeidimams, kurie kyla kaupiantis glikogenui. Pombiliti vartojamas kartu su miglustatu – fermento stabilizatoriumi, padedančiu palaikyti cipagliukozidazės alfa veikimą.

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



Kokia Pombiliti nauda nustatyta tyrimų metu?

Atlikus pagrindinį tyrimą, kuriame dalyvavo 125 pacientai, nustatyta, kad Pombiliti kartu su miglustatu vartojančių vėlyvosios stadijos Pompe liga sergančių pacientų fiziniai gebėjimai pagerėjo. Tyrimo metu buvo vertinami atstumo, kurį pacientai galėjo nueiti prieš gydymą ir po jo, pokyčiai. Metus laiko Pombiliti ir miglustatu gydyti pacientai per 6 minutes vidutiniškai galėjo nueiti 20 metrų daugiau nei prieš gydymą.

Kokia rizika susijusi su Pombiliti vartojimu?

Dažniausias Pombiliti šalutinis poveikis (galintis pasireikšti ne daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra šaltkrėtis, galvos svaigimas, raudonis, mieguistumas, nemalonūs pojūčiai krūtinės srityje, kosulys, patinimas infuzijos vietoje ir skausmas.

Sunkus šalutinis poveikis (galintis pasireikšti ne daugiau kaip 1 žmogui iš 50) yra niežtinis bėrimas, sunkios alerginės reakcijos, karščiavimas, silpnumas, pasunkėjęs kvėpavimas, gerklės patinimas, švokštimas ir sumažėjęs kraujospūdis.

Pombiliti negalima vartoti žmonėms, kuriems buvo gyvybei pavojingų alerginių reakcijų į veikliąją medžiagą arba bet kurią kitą vaisto sudedamąją dalį. Jo taip pat negalima vartoti žmonėms, kuriems negalima vartoti miglustato.

Išsamų visų šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Kodėl Pombiliti buvo registruotas ES?

Pompe liga yra reta ir sekinanti liga, kuria sergantiesiems pacientams pasireiškia gyvybei pavojingų širdies ir kvėpavimo sutrikimų. Iš tyrimų matyti, kad kartu su miglustatu vartojamas Pombiliti veiksmingai gerina arba stabilizuoja vėlyvosios stadijos Pompe liga sergančių pacientų fizinius gebėjimus. Laikomasi nuomonės, kad Pombiliti sukeliama šalutinį poveikį, kuris daugiausia yra lengvas arba vidutinio sunkumo, galima kontroliuoti. Todėl Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Pombiliti nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Pombiliti vartojimą?

Pombiliti prekiaujanti bendrovė sveikatos priežiūros specialistams, kurie skirs, išduos arba naudos Pombiliti savo pacientams, pateiks mokomąją medžiagą apie namuose atliekamas šio vaisto infuzijas. Mokomoji medžiaga parengta siekiant pateikti rekomendacijas, kaip pacientams skirti Pombiliti ir miglustatą ir kaip valdyti su infuzija susijusią riziką, pvz., alergines reakcijas. Pacientams taip pat bus pateiktas namuose atliekamų infuzijų vadovas ir infuzijos dienas, kad jie galėtų lengviau atpažinti su infuzija susijusias reakcijas ir apie jas pranešti.

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Pombiliti ir miglustato vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Pombiliti, vartojamo kartu su miglustatu, duomenys yra nuolatos stebimi. Įtariamas Pombiliti šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Pombiliti

Daugiau informacijos apie Pombiliti rasite Agentūros tinklalapyje adresu:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pombiliti.