



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Pombiliti (*cipaglicosidase alfa*)

Um resumo sobre Pombiliti e porque está autorizado na UE

### O que é Pombiliti e para que é utilizado?

Pombiliti é um medicamento utilizado no tratamento de adultos com doença de Pompe de início tardio (deficiência de alfa-glucosidase ácida [GAA]), uma doença hereditária na qual os doentes têm dificuldades respiratórias e fraqueza muscular. Pombiliti é utilizado em associação com outro medicamento, o miglustato.

Pombiliti contém a substância ativa cipaglicosidase alfa.

### Como se utiliza Pombiliti?

Pombiliti é administrado por perfusão (administração gota a gota) numa veia de duas em duas semanas. A perfusão começa 1 hora após a toma de miglustato e dura 4 horas. Pombiliti pode ser administrado em casa em doentes que tolerem bem as perfusões administradas.

O medicamento só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser supervisionado por um médico com experiência no tratamento de doentes com doença de Pompe ou doenças similares.

Para mais informações sobre a utilização de Pombiliti, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

### Como funciona Pombiliti?

Os doentes com doença de Pompe carecem de uma enzima denominada alfa-glucosidase ácida (GAA), que é importante para decompor o glicogénio (um açúcar complexo armazenado no organismo) em glucose (um açúcar simples). Consequentemente, o glicogénio acumula-se nos músculos, incluindo o coração e o diafragma (o principal músculo respiratório, localizado por baixo dos pulmões), causando problemas cardíacos, dificuldades respiratórias e fraqueza muscular.

A substância ativa de Pombiliti, a cipaglicosidase alfa, é uma enzima que atua da mesma forma que a enzima GAA em falta (ou seja, decompondo o glicogénio em glucose). Substitui a GAA e previne danos

**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



adicionais causados pela acumulação de glicogénio. Pombiliti é administrado em associação com miglustato, um estabilizador de enzimas que ajuda a cipaglicosidase alfa a manter-se funcional.

## **Quais os benefícios demonstrados por Pombiliti durante os estudos?**

Um estudo principal que incluiu 125 doentes demonstrou que Pombiliti em associação com miglustato melhorou as capacidades físicas de doentes com doença de Pompe de início tardio. O estudo analisou as alterações na distância que os doentes conseguiam percorrer antes e após o tratamento. Em média, os doentes tratados com Pombiliti e miglustato durante 1 ano conseguiram caminhar mais 20 metros em 6 minutos do que antes do tratamento.

## **Quais são os riscos associados a Pombiliti?**

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Pombiliti (que podem afetar 1 em cada 10 pessoas) são arrepios, tonturas, rubores, sonolência, desconforto no peito, tosse, inchaço no local da perfusão e dor.

Os efeitos secundários graves (que podem afetar 1 em cada 50 pessoas) são erupção cutânea acompanhada de comichão, reações alérgicas graves, febre, sensação de desmaio, dificuldade em respirar, inchaço da garganta, sibilos (pieira) e tensão arterial baixa.

O uso de Pombiliti é contraindicado em pessoas que tenham tido reações alérgicas potencialmente fatais à substância ativa ou a qualquer outro componente do medicamento. É também contraindicado em pessoas que não possam receber miglustato.

Para a lista completa dos efeitos secundários e das restrições de utilização, consulte o Folheto Informativo.

## **Porque está Pombiliti autorizado na UE?**

A doença de Pompe é uma doença rara e debilitante, com os doentes a apresentarem problemas cardíacos e respiratórios potencialmente fatais. Os estudos demonstram que, quando administrado em associação com miglustato, Pombiliti é eficaz na melhoria ou estabilização das capacidades físicas dos doentes com doença de Pompe de início tardio. Os efeitos secundários de Pombiliti, na sua maioria ligeiros a moderados, são considerados controláveis. A Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Pombiliti são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

## **Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Pombiliti?**

A empresa que comercializa Pombiliti irá fornecer material informativo sobre a perfusão em casa aos profissionais de saúde que se prevê que prescrevam, dispensem ou utilizem Pombiliti. Esse material destina-se a fornecer orientações sobre a forma como Pombiliti e o miglustato devem ser administrados aos doentes e como gerir os riscos relacionados com a perfusão, tais como reações alérgicas. Os doentes receberão também um guia sobre a perfusão em casa e um diário para ajudar a reconhecer e comunicar as reações às perfusões.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram igualmente incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Pombiliti.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Pombiliti em associação com miglustato são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Pombiliti são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger as doentes.

### **Outras informações sobre Pombiliti**

Mais informações sobre Pombiliti podem ser encontradas no sítio da internet da Agência:

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pombiliti](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pombiliti)