



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

Send us a question Go to 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