



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pombiliti (*cipaglukozidaza alfa*)

Pregled zdravila Pombiliti in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Pombiliti in za kaj se uporablja?

Zdravilo Pombiliti se uporablja za zdravljenje odraslih s poznim nastopom Pompejeve bolezni (pomanjkanjem kislinske alfa-glukozidaze [GAA]), tj. dedno boleznijo, pri kateri imajo bolniki težave z dihanjem in oslabelostjo mišic. Zdravilo Pombiliti se uporablja v kombinaciji z drugim zdravilom, miglustatom.

Zdravilo Pombiliti vsebuje učinkovino cipaglukozidaza alfa.

Kako se zdravilo Pombiliti uporablja?

Zdravilo Pombiliti se daje z infundiranjem (kapalno infuzijo) v veno vsak drugi teden. Infuzija se daje eno uro po zaužitju kapsul miglustata in traja štiri ure. Pri bolnikih, ki dobro prenašajo infundiranje, se lahko zdravilo Pombiliti daje v domačem okolju.

Predpisovanje in izdaja zdravila je le na recept, zdravljenje z njim pa mora nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem bolnikov z Pompejevo boleznijo ali podobnimi boleznimi.

Za več informacij glede uporabe zdravila Pombiliti glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Pombiliti deluje?

Bolnikom s Pompejevo boleznijo primanjkuje encima, imenovanega kislinska alfa-glukozidaza (GAA), ki je pomemben pri razgradnji glikogena (kompleksnega sladkorja, shranjenega v telesu) v glukozo (preprost sladkor). Posledično se glikogen kopiči v mišicah, vključno v srcu in trebušni preponi (glavni dihalni mišici pod pljuči), kar povzroča težave s srcem, težave z dihanjem in oslabelost mišic.

Učinkovina v zdravilu Pombiliti, cipaglukozidaza alfa, je encim, ki deluje enako kot manjkajoči encim GAA (tj. razgrajuje glikogen v glukozo). Nadomešča glikogen in preprečuje nadaljnjo škodo, ki jo povzroči kopičenje glikogena. Zdravilo Pombiliti se daje v kombinaciji z miglustatom, encimskim stabilizatorjem, ki ohranja delovanje cipaglukozidaze alfa.

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



Kakšne koristi zdravila Pombiliti so se pokazale v študijah?

Glavna študija, v katero je bilo vključenih 125 bolnikov, je pokazala, da zdravilo Pombiliti v kombinaciji z miglustatom izboljša fizično sposobnost bolnikov s poznim nastopom Pompejeve bolezni. V študiji so proučevali spremembo v razdalji, ki so jo bolniki lahko prehodili pred zdravljenjem in po njem. V povprečju so bolniki, ki so se eno leto zdravili z zdravilom Pombiliti in miglustatom, v šestih minutah lahko prehodili 20 metrov več kot pred zdravljenjem.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Pombiliti?

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Pombiliti (ki se lahko pojavijo pri največ 1 bolniku od 10) so mrzlica, omotica, zardevanje, zaspanost, neprijeten občutek v prsnem košu, kašelj, otekanje na mestu infuzije in bolečina.

Resni neželeni učinki (ki se lahko pojavijo pri največ 1 bolniku od 50) so srbeč izpuščaj, resne alergijske reakcije, povišana telesna temperatura, omedlevica, težave z dihanjem, otekanje v grlu, sopenje in nizek krvni tlak.

Zdravila Pombiliti ne smejo uporabljati osebe, ki so imele smrtno nevarne alergijske reakcije na učinkovino ali katero koli drugo sestavino zdravila. Prav tako ga ne smejo uporabljati osebe, ki ne smejo jemati miglustata.

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo Pombiliti odobreno v EU?

Pompejeva bolezen je redka in izčrpavajoča, bolniki pa imajo življenjsko nevarne težave s srcem in dihali. Študije so pokazale, da zdravilo Pombiliti v kombinaciji z miglustatom učinkovito izboljša ali stabilizira fizično sposobnost bolnikov s poznim nastopom Pompejeve bolezni. Neželeni učinki zdravila Pombiliti, ki so večinoma blagi do zmerni, veljajo za obvladljive. Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Pombiliti večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Pombiliti?

Podjetje, ki trži zdravilo Pombiliti, bo zdravstvenim delavcem, ki naj bi predpisovali, izdajali ali uporabljali to zdravilo, zagotovilo izobraževalno gradivo o infuziji v domačem okolju, ki vsebuje navodila o tem, kako je treba zdravilo Pombiliti in miglustat dajati bolnikom in kako obvladovati tveganja, povezana z infundiranjem, kot so denimo alergijske reakcije. Bolniki bodo prejeli tudi navodila za infuzijo na domu in dnevnik infundiranja, ki jim bosta v pomoč pri prepoznavanju reakcij na infuzijo in poročanju o njih.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Pombiliti upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Pombiliti v kombinaciji z miglustatom stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Pombiliti, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Pombiliti

Nadaljnje informacije za zdravilo Pombiliti so na voljo na spletni strani agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pombiliti