



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pombiliti (*cipaglicosidasa alfa*)

Información general sobre Pombiliti y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Pombiliti y para qué se utiliza?

Pombiliti es un medicamento que se utiliza para el tratamiento de adultos con enfermedad de Pompe (deficiencia de alfa-glucosidasa ácida [GAA]) de inicio tardío, un trastorno hereditario en el que los pacientes tienen dificultad para respirar y debilidad muscular. Pombiliti se utiliza en combinación con otro medicamento, el miglustat.

Pombiliti contiene el principio activo cipaglicosidasa alfa.

¿Cómo se usa Pombiliti?

Pombiliti se administra mediante perfusión (goteo) en una vena cada dos semanas. La perfusión comienza 1 hora después de tomar miglustat y dura 4 horas. Pombiliti se puede administrar en casa a los pacientes que toleren bien las perfusiones.

Este medicamento solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento debe ser supervisado por un médico con experiencia en el tratamiento de pacientes con la enfermedad de Pompe u otras enfermedades similares.

Para mayor información sobre el uso de Pombiliti, consulte el prospecto o póngase en contacto con su médico o farmacéutico.

¿Cómo actúa Pombiliti?

Los pacientes con enfermedad de Pompe carecen de una enzima denominada alfa-glucosidasa ácida (GAA), que es importante para descomponer el glucógeno (un azúcar complejo almacenado en el organismo) en glucosa (un azúcar simple). Como resultado, el glucógeno se acumula en los músculos, incluidos el corazón y el diafragma (el principal músculo respiratorio, situado bajo los pulmones), lo que provoca problemas cardíacos, dificultades respiratorias y debilidad muscular.

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



El principio activo de Pombiliti, la cipaglicosidasa alfa, es una enzima que actúa de la misma forma que la enzima GAA que falta (es decir, descomponiendo el glucógeno en glucosa). Sustituye a la GAA e impide que aparezcan daños adicionales causados por la acumulación de glucógeno. Pombiliti se administra en combinación con miglustat, un estabilizador enzimático que ayuda a que la cipaglicosidasa alfa siga funcionando.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Pombiliti en los estudios realizados?

Un estudio principal en el que participaron 125 pacientes demostró que Pombiliti en combinación con miglustat mejoraba las capacidades físicas de los pacientes con enfermedad de Pompe de inicio tardío. El estudio examinó los cambios en la distancia que los pacientes podían caminar antes y después del tratamiento. Por término medio, los pacientes tratados con Pombiliti y miglustat durante 1 año fueron capaces de caminar 20 metros más en 6 minutos de lo que podían antes del tratamiento.

¿Cuáles son los riesgos asociados a Pombiliti?

Los efectos adversos más frecuentes de Pombiliti (pueden afectar hasta a 1 de cada 10 pacientes) son escalofríos, mareo, sofocos, somnolencia, molestias en el pecho, tos, hinchazón en el lugar de la perfusión y dolor.

Los efectos adversos graves (pueden afectar hasta a 1 de cada 50 pacientes) son erupción con picor, reacciones alérgicas graves, fiebre, sensación de desmayo, dificultad para respirar, hinchazón de la garganta, sibilancias y tensión arterial baja.

Pombiliti no debe administrarse a personas que hayan tenido reacciones alérgicas potencialmente mortales al principio activo o a cualquiera de los demás componentes del medicamento. Tampoco debe administrarse a personas que no puedan tomar miglustat.

La lista completa de efectos adversos y restricciones se puede consultar en el prospecto.

¿Por qué se ha autorizado Pombiliti en la UE?

La enfermedad de Pompe es una enfermedad rara y debilitante en la que los pacientes presentan problemas cardíacos y respiratorios potencialmente mortales. Los estudios demuestran que, cuando se administra en combinación con miglustat, Pombiliti es eficaz para mejorar o estabilizar las capacidades físicas de los pacientes con enfermedad de Pompe de inicio tardío. Los efectos adversos de Pombiliti, que en su mayoría son leves o moderados, se consideran controlables. Por consiguiente, la Agencia Europea de Medicamentos ha decidido que los beneficios de Pombiliti son mayores que sus riesgos y ha recomendado autorizar su uso en la UE.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Pombiliti?

La compañía que comercializa Pombiliti proporcionará materiales educativos sobre la perfusión domiciliar a los profesionales sanitarios que previsiblemente vayan a prescribir, dispensar o utilizar Pombiliti. Su finalidad es orientar sobre cómo deben administrarse Pombiliti y miglustat a los pacientes y cómo abordar los riesgos relacionados con la perfusión, como las reacciones alérgicas. También se facilitará a los pacientes una guía sobre la perfusión domiciliar y un diario de perfusiones para ayudar a identificar y notificar las reacciones a la perfusión.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Pombiliti y miglustat se han incluido también en la ficha técnica o resumen de las características del producto y el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Pombiliti en combinación con miglustat se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados con Pombiliti son evaluados cuidadosamente y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Pombiliti

Puede encontrar información adicional sobre Pombiliti en la página web de la Agencia:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pombiliti