

Rapporto sintetico di omologazione del 25.10.2024

Pombiliti® (principio attivo: cipaglicosidasi alfa)

Omologazione in Svizzera: 04.07.2024

Polvere per concentrato per soluzione per infusione per il trattamento della malattia di Pompe a esordio tardivo nelle persone adulte.

Informazioni sul medicamento

Pombiliti contiene il principio attivo cipaglicosidasi alfa per la terapia enzimatica sostitutiva a lungo termine per persone adulte che soffrono della malattia di Pompe a esordio tardivo. La malattia di Pompe è causata da un deficit genetico dell'enzima «alfa-glicosidasi acida» nelle cellule muscolari. Questo enzima è importante perché degrada il glicogeno. Il glicogeno è una forma endogena di stoccaggio degli zuccheri; se non può essere degradato, si verifica un accumulo di glicogeno nelle varie cellule muscolari, come il cuore o il diaframma. Di conseguenza, le persone colpite accusano disturbi cardiaci e respiratori nonché debolezza muscolare.

Pombiliti è combinato con un altro medicamento (Miglustat). Pombiliti penetra nelle cellule muscolari colpite e favorisce la degradazione del glicogeno.

Poiché la malattia di Pompe è una malattia rara potenzialmente letale, il medicamento è stato omologato come «medicamento orfano». Sono definiti «orfani» i medicinali importanti per malattie rare.

Swissmedic ha omologato Pombiliti in conformità con l'articolo 13 della legge sugli agenti terapeutici (LATer). Questo significa

che il medicamento è già stato omologato in un altro Paese con controllo dei medicinali equivalente.

In questo caso Swissmedic tiene conto dei risultati degli esami effettuati dalle autorità estere di controllo dei medicinali, a condizione che siano soddisfatti determinati requisiti. Tali requisiti riguardano gli esami effettuati sulla qualità, sull'efficacia e sulla sicurezza del medicamento nonché la misura in cui i risultati possono essere adottati per la Svizzera. Tenere conto dei risultati delle procedure di omologazione estere deve contribuire a mettere a disposizione delle pazienti e dei pazienti svizzeri i medicinali già omologati all'estero il più rapidamente possibile.

Per l'omologazione di Pombiliti in Svizzera, Swissmedic ha ripreso la valutazione e la decisione di omologazione dell'Agenzia europea per i medicinali (EMA; Reference Number EMA/950090/2022) e ha effettuato solo una valutazione scientifica limitata.

Sia nello SwissPAR (Swiss Public Assessment Report) sia nel relativo Rapporto sintetico di omologazione, Swissmedic fa quindi riferi-

mento al rapporto di valutazione pubblicamente disponibile dell'autorità di riferimento: www.ema.europa.eu.

Maggiori informazioni sul medicamento

Informazione per il personale medico-sanitario: [Informazione professionale di Pombiliti®](#)

Informazione destinata alle/ai pazienti (foglio illustrativo): [Informazione destinata ai pazienti di Pombiliti®](#)

Per altre domande, rivolgersi alle/ai professioniste/i della salute.

Lo stato di questa informazione corrisponde a quello dello SwissPAR. Le nuove conoscenze acquisite sul medicamento omologato non sono incluse nel Rapporto sintetico di omologazione.

I medicinali omologati in Svizzera sono monitorati da Swissmedic. In caso di nuovi effetti indesiderati riscontrati o di altri segnali rilevanti per la sicurezza, Swissmedic adotterà le misure necessarie. Swissmedic si occuperà di registrare e pubblicare qualsiasi nuova conoscenza acquisita concernente aspetti che potrebbero compromettere la qualità, l'efficacia o la sicurezza di questo medicamento. Se necessario, l'informazione sul medicamento sarà modificata.