

▼ Ce médicament fait l'objet d'une surveillance supplémentaire qui permettra l'identification rapide de nouvelles informations relatives à la sécurité. Vous pouvez y contribuer en signalant tout effet indésirable que vous observez. Voir en fin de rubrique « Quels effets indésirables Pombiliti peut-il provoquer » pour plus d'informations concernant la déclaration des effets indésirables.

Information destinée aux patients

Veuillez lire attentivement cette notice avant de commencer à prendre ce médicament. Ce médicament vous a été personnellement prescrit. Ne le donnez pas à d'autres personnes. Il pourrait leur être nocif, même si les signes de leur maladie sont identiques aux vôtres. Gardez cette notice. Vous pourriez avoir besoin de la relire.

Pombiliti®

Qu'est-ce que Pombiliti et quand doit-il être utilisé ?

Qu'est-ce que Pombiliti ?

Pombiliti est un type de "Traitement enzymatique substitutif" (TES) utilisé dans le traitement de la forme tardive de la maladie de Pompe chez l'adulte. Pombiliti contient le principe actif cipaglucohydrolase alfa.

Dans quel cas est-il utilisé ?

Pombiliti est toujours utilisé avec un autre médicament appelé miglustat 65 mg, gélules. Il est très important que vous lisiez également la notice de miglustat 65 mg, gélules.

Si vous avez d'autres questions sur ce médicament, interrogez votre médecin ou votre pharmacien.

Comment agit Pombiliti

Chez les patients atteints de la maladie de Pompe, les niveaux de l'enzyme alpha-glucosidase acide (GAA) sont faibles. Cette enzyme aide à contrôler les niveaux de glycogène (un type de glucides) dans l'organisme.

Dans la maladie de Pompe, des taux élevés de glycogène s'accumulent dans les muscles du corps. Cette accumulation empêche certains muscles de fonctionner correctement : il s'agit par exemple de ceux qui vous aident à marcher, des muscles situés sous les poumons qui vous aident à respirer et du muscle cardiaque.

Pombiliti pénètre dans les cellules musculaires qui sont affectées par la maladie de Pompe. Lorsqu'il se trouve dans les cellules, le médicament agit de manière similaire à l'enzyme GAA pour aider à décomposer le glycogène et à contrôler son taux.

Soumis à prescription médicale.

Quand Pombiliti ne doit-il pas être pris/utilisé ?

Vous ne devez jamais recevoir Pombiliti

- Si vous avez déjà présenté des réactions d'hypersensibilité mettant en jeu le pronostic vital :
 - à la cipaglucohydrolase alfa
 - au miglustat
 - à l'un des excipients contenus dans ce médicament (répertorié à la rubrique « Que contient Pombiliti ? »).



- Si une perfusion précédente a dû être arrêtée et n'a pas pu être reprise en raison de réactions d'hypersensibilité mettant en jeu le pronostic vital que vous avez présentées.

Quelles sont les précautions à observer lors de la prise/de l'utilisation de Pombiliti ?

Adressez-vous à votre médecin, pharmacien/pharmacienne ou infirmier/infirmière avant d'utiliser Pombiliti.

Informez immédiatement un médecin ou un(e) infirmier/infirmière si ces situations s'appliquent ou, selon vous, pourraient s'appliquer à vous ou si vous avez déjà présenté de telles réactions avec un autre traitement enzymatique substitutif (TES) :

- des réactions allergiques, notamment une anaphylaxie (une réaction allergique grave) – voir la rubrique « Quels effets indésirables Pombiliti peut-il provoquer » ci-dessous pour connaître les symptômes des réactions mettant en jeu le pronostic vital.
- une réaction associée à la perfusion pendant que vous recevez le médicament ou dans les quelques heures qui suivent – voir la rubrique « Quels effets indésirables Pombiliti peut-il provoquer ? » ci-dessous pour connaître les symptômes des réactions mettant en jeu le pronostic vital.

Informez votre médecin si vous avez des antécédents de maladie cardiaque ou pulmonaire. Ces maladies peuvent s'aggraver pendant ou immédiatement après votre perfusion de Pombiliti. Informez immédiatement un médecin ou un(e) infirmier(ère) si vous présentez un essoufflement, de la toux, un rythme cardiaque rapide ou irrégulier, ou tout autre effet de ces maladies.

Informez également votre médecin si vous présentez un gonflement des jambes ou un gonflement généralisé du corps, une éruption cutanée sévère, ou voyez une urine mousseuse lorsque vous urinez. Votre médecin décidera s'il convient d'arrêter votre perfusion de Pombiliti et vous donnera un traitement médical approprié. Votre médecin décidera également si vous pouvez continuer à recevoir Pombiliti.

Médicaments avant le traitement

Votre médecin pourra vous prescrire d'autres médicaments avant de recevoir Pombiliti. Ces médicaments comprennent :

- des antihistaminiques et des corticoïdes pour prévenir ou aider à réduire les réactions liées à la perfusion ;
- des antipyrétiques pour réduire la fièvre.

Conduite de véhicules et utilisation de machines

Ce médicament peut affecter les temps de réaction, l'aptitude à conduire des véhicules et à utiliser des outils ou des machines. Vous pourriez ressentir des vertiges, une somnolence ou avoir une tension artérielle faible (hypotension) après avoir reçu Pombiliti ou des médicaments avant le traitement. Si cela se produit, ne conduisez pas et n'utilisez pas d'outils ou de machines.

Enfants et adolescents

Ce médicament ne doit pas être administré aux patients âgés de moins de 18 ans. En effet, les effets de Pombiliti en association avec le miglustat ne sont pas connus dans cette tranche d'âge.

Pombiliti contient du sodium

Ce médicament contient 10,5 mg de sodium (composant principal du sel de cuisine/table) par flacon. Cela équivaut à 0,52 % de l'apport alimentaire quotidien maximal recommandé de sodium pour un adulte.



Informez votre médecin ou votre pharmacien/pharmacienne si vous

- souffrez d'autres maladies,
- avez des allergies ou
- prenez déjà d'autres médicaments (même en automédication !).

Pombiliti peut-il être pris/utilisé pendant la grossesse ou l'allaitement ?

Contraception chez les femmes et fertilité

Les patientes en âge de procréer doivent utiliser des méthodes contraceptives fiables pendant le traitement et pendant 4 semaines après l'arrêt des deux médicaments.

Grossesse et allaitement

Si vous êtes enceinte ou que vous allaitez, si vous pensez être enceinte ou planifiez une grossesse, demandez conseil à votre médecin ou pharmacien/pharmacienne avant de prendre ce médicament.

Il n'y a pas d'expérience avec l'utilisation de Pombiliti en association avec le miglustat pendant la grossesse.

- Vous ne devez pas recevoir Pombiliti et/ou prendre miglustat 65 mg gélules si vous êtes enceinte. N'oubliez pas d'informer immédiatement votre médecin si vous débutez une grossesse, si vous pensez être enceinte ou si vous prévoyez de débiter une grossesse. Il peut y avoir des risques pour l'enfant à naître.
- Pombiliti en association avec le miglustat ne doit pas être administré aux femmes qui allaitent. Une décision devra être prise soit d'arrêter le traitement, soit d'arrêter l'allaitement.

Comment utiliser Pombiliti ?

Pombiliti vous est administré par un médecin ou un(e) infirmier/infirmière. Il est administré par un goutte-à-goutte dans une veine. C'est ce qu'on appelle une perfusion intraveineuse.

Informez votre médecin si vous souhaitez recevoir un traitement à domicile. Votre médecin décidera, après une évaluation, si vous pouvez recevoir une perfusion de Pombiliti à domicile en toute sécurité. Si vous ressentez un quelconque effet indésirable pendant une perfusion de Pombiliti, le membre du personnel administrant la perfusion à domicile pourra arrêter la perfusion et commencer un traitement médical approprié.

Pombiliti doit être utilisé en association avec le miglustat. Vous pouvez uniquement utiliser le miglustat 65 mg, gélules avec la cipaglucohydrolase alfa. N'utilisez **PAS** de gélules de 100 mg de miglustat (produit différent). Suivez les instructions de votre médecin et consultez la notice de miglustat 65 mg, gélules pour connaître la dose recommandée.

Quelle quantité de Pombiliti vous est administrée ?

La quantité de médicament qui vous sera administrée dépend de votre poids corporel. La dose recommandée est de 20 mg pour chaque kg de poids corporel.

Quand et pendant combien de temps Pombiliti est-il administré ?

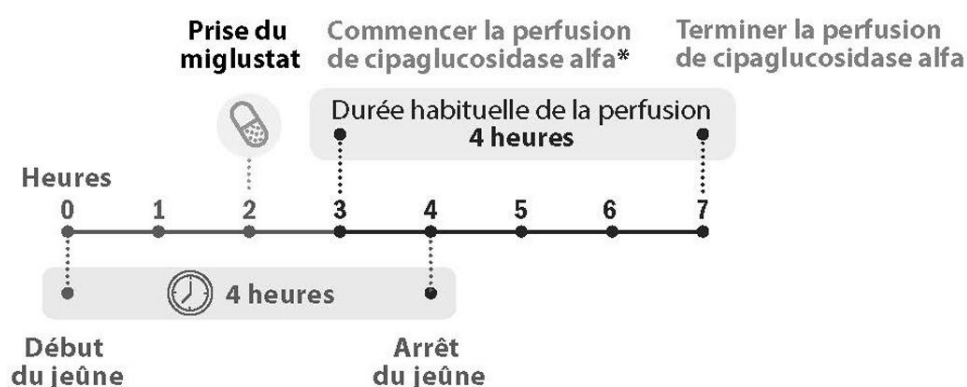
- Vous recevrez Pombiliti une fois toutes les deux semaines. Les gélules de 65 mg de miglustat sont prises le même jour que Pombiliti. Reportez-vous à la notice de miglustat 65 mg, gélules pour obtenir



des informations sur la façon de prendre le miglustat.

- La perfusion de cipaglucohydase alfa doit commencer 1 heure après la prise de miglustat 65 mg, gélules. En cas de retard de la perfusion, celle-ci ne doit pas être démarrée plus de 3 heures après la prise de miglustat.
- La perfusion de cipaglucohydase alfa dure environ 4 heures.

Figure 1. Calendrier de dosage



* La perfusion de cipaglucohydase alfa doit commencer 1 heure après la prise de gélules de miglustat. En cas de retard de la perfusion, celle-ci ne doit pas être démarrée plus de 3 heures après la prise de miglustat.

Passage d'un traitement enzymatique substitutif (TES) à un autre

Si vous êtes actuellement traité(e) par un autre TES :

- Votre médecin vous indiquera à quel moment arrêter l'autre TES avant de commencer Pombiliti.
- Avertissez votre médecin lorsque vous avez terminé votre dernière dose.

Si vous avez reçu plus de Pombiliti que vous n'auriez dû

Si vous avez des difficultés à respirer, si vous vous sentez gonflé(e) ou ballonné(e), ou si votre cœur s'emballé, il se peut que vous ayez reçu trop de Pombiliti ; parlez-en immédiatement à votre médecin. Un débit excessif de perfusion de Pombiliti peut entraîner des symptômes liés à une trop grande quantité de liquide dans le corps, tels qu'un essoufflement, une fréquence cardiaque rapide ou un gonflement généralisé du corps.

Si vous oubliez votre dose de Pombiliti

Si vous avez oublié une perfusion, veuillez contacter votre médecin ou votre infirmier/ère dès que possible pour reprogrammer Pombiliti en association avec le miglustat 24 heures après la dernière prise de miglustat.

Si vous arrêtez de recevoir Pombiliti



Parlez à votre médecin si vous souhaitez arrêter le traitement par Pombiliti. Les symptômes de votre maladie peuvent s'aggraver si vous arrêtez le traitement.

Ne déviez pas de la posologie prescrite. Si vous pensez que l'effet du médicament est trop faible ou trop fort, parlez-en à votre médecin ou à votre pharmacien/pharmacienne.

Quels effets secondaires Pombiliti peut-il provoquer ?

Comme tous les médicaments, ce médicament peut provoquer des effets indésirables, mais ils ne surviennent pas systématiquement chez tout le monde.

Étant donné que Pombiliti est utilisé avec le miglustat, des effets indésirables peuvent être causés par l'un ou l'autre de ces médicaments. Les effets indésirables ont été principalement observés pendant que les patients recevaient la perfusion de Pombiliti (réactions liées à la perfusion) ou peu de temps après. Vous devez informer immédiatement votre médecin si vous présentez une réaction associée à la perfusion ou une réaction allergique. Certaines de ces réactions peuvent devenir graves et menacer le pronostic vital. Votre médecin pourra vous administrer des médicaments avant votre perfusion pour la prévention de ces réactions.

Réactions liées à la perfusion

La plupart des réactions liées à la perfusion sont légères ou modérées. Les symptômes des réactions liées à la perfusion peuvent comprendre des difficultés à respirer, des ballonnements, de la fièvre, des frissons, des sensations vertigineuses, une rougeur de la peau, des démangeaisons de la peau et des éruptions cutanées (rashes).

Réactions allergiques

Les réactions allergiques peuvent inclure des symptômes tels que : éruptions cutanées à tout endroit du corps, gonflement des yeux, difficultés respiratoires prolongées, toux, gonflement des lèvres, de la langue ou de la gorge, démangeaisons cutanées et urticaire.

Très fréquent (touche plus d'un patient sur 10)

- Maux de tête

Fréquent (touche 1 à 10 patients sur 100)

- Réaction allergique grave mettant en danger la vie (réaction anaphylactique)
- Trouble du goût
- Sensation de vertige
- Tremblement
- Se sentir somnolent
- Sensation d'engourdissement, de picotements, de fourmillements (paresthésie)
- Battement de cœur rapide
- Rougeur de la peau
- Hypertension artérielle
- Hypotension artérielle
- Essoufflement
- Toux
- Diarrhée
- Nausées
- Douleurs d'estomac



- Gaz intestinaux
- Ballonnements
- Vomissements
- Constipation
- Urticaire
- Abrasion cutanée
- Rougeur
- Sudation excessive
- Contractions musculaires douloureuses
- Douleurs musculaires
- Faiblesse musculaire
- Douleurs articulaires
- Fatigue
- Fièvre
- Frissons
- Gêne thoracique
- Gonflement ou douleur dans la zone du corps où l'aiguille a été insérée
- Douleurs
- Gonflement des mains, des pieds, des chevilles, des jambes

Peu fréquent (touche 1 à 10 patients sur 1 000)

- Réactions allergiques
- Manque d'équilibre ou de maintien de l'équilibre
- Sensation de brûlure
- Migraine
- Sensation de quasi-évanouissement
- Pâleur inhabituelle de la peau
- Asthme
- Respiration sifflante
- Gêne dans la bouche et la gorge
- Gorge enflée
- Maux d'estomac
- Indigestion
- Douleur ou contractions douloureuses dans l'œsophage
- Douleur ou inconfort buccal
- Langue gonflée
- Altération de la couleur de la peau
- Gonflement de la peau
- Douleur dans la zone entre la hanche et les côtes
- Fatigue musculaire
- Raideur musculaire
- Faiblesse
- Douleur dans la joue, les gencives, les lèvres, le menton
- Douleur dans la zone du corps où l'aiguille a été insérée
- Sensation générale de malaise
- Sensation de confusion
- Douleur dans la poitrine
- Visage enflé
- Variations de la température corporelle
- Égratignures ou lésions cutanées



- Diminution du nombre de plaquettes ou d'un type de globules blancs ; observée dans les analyses

Si vous ressentez un quelconque effet indésirable, parlez-en à votre médecin ou votre pharmacien/pharmacienne. Ceci s'applique en particulier à tout effet indésirable qui ne serait pas mentionné dans cette notice.

À quoi faut-il encore faire attention ?

Votre médecin, pharmacien/pharmacienne, infirmier/infirmière est responsable de la conservation de ce médicament et de l'élimination correcte de tout flacon ouvert. Les informations suivantes sont destinées exclusivement aux professionnels de la santé.

Durée de conservation

Ce médicament ne doit pas être utilisé après la date de péremption indiquée sur le flacon et la boîte après les lettres « EXP ». La date de péremption fait référence au dernier jour du mois.

Durée de conservation après dilution

Après dilution, une utilisation immédiate est recommandée. Cependant, la conservation de la poche intraveineuse contenant Pombiliti a été démontrée pendant 6 heures à une température comprise entre 20 °C et 25°C et pendant 24 heures entre 2 °C et 8 °C.

Ne pas congeler le flacon reconstitué ou la solution diluée de cipaglucohydrolase alfa dans la poche pour perfusion.

Précautions de conservation

À conserver au réfrigérateur (entre 2 °C et 8 °C).

Conserver le flacon dans l'emballage extérieur à l'abri de la lumière.

Tenir hors de la portée des enfants.

Informations supplémentaires

Ne jetez aucun médicament au tout-à-l'égout ou avec les ordures ménagères. Demandez à votre pharmacien d'éliminer les médicaments que vous n'utilisez plus. Ces mesures contribueront à protéger l'environnement.

Votre médecin ou pharmacien/pharmacienne peut vous fournir plus d'informations. Ces professionnels possèdent les informations complètes destinées aux professionnels de santé.

Que contient Pombiliti ?

Pombiliti est une poudre pour solution à diluer pour perfusion, contenue dans un flacon.

Pombiliti est une poudre blanche à légèrement jaune. Après reconstitution, elle apparaît comme une solution limpide à opalescente, incolore à légèrement jaune, exempte de particules étrangères, pratiquement exempte de particules, sous forme de particules blanches à translucides. La solution reconstituée doit être encore diluée dans une poche pour perfusion intraveineuse.

Après reconstitution, la solution contenue dans le flacon contient 15 mg de cipaglucohydrolase alfa par ml. La concentration finale recommandée de la solution entièrement diluée dans le sac d'infusion varie de 0,5 mg/mL à 4 mg/mL.

Principes actifs



Le principe actif est la cipaglucohydrolase alfa. Un flacon contient 105 mg de cipaglucohydrolase alfa*.

* L'α-glucosidase acide humaine avec N-glycanes bisphosphorylés (bis-M6P) est produite dans des cellules ovariennes de hamster chinois (OHC) par la technologie de l'ADN recombinant.

Excipients

Citrate de sodium dihydraté (E331), acide citrique monohydraté (E330), mannitol (E421) et polysorbate 80 (E433).

Numéro d'autorisation

67804 (Swissmedic)

Où obtenez-vous Pombiliti ? Quels sont les emballages à disposition sur le marché ?

Dans les pharmacies; sur présentation d'une ordonnance médicale destinée exclusivement à un usage unique.

Boîtes de 1 flacon, 10 flacons ou 25 flacons.

Titulaire de l'autorisation

Amicus Therapeutics Switzerland GmbH
Seefeldstrasse 69
CH-8008 Zurich
Suisse

Cette notice d'emballage a été vérifiée pour la dernière fois en mai 2025 par l'autorité de contrôle des médicaments (Swissmedic).

Les informations suivantes sont destinées exclusivement aux professionnels de la santé :

Mode d'emploi : reconstitution, dilution et administration

Pombiliti doit être reconstitué avec de l'eau pour préparations injectables, puis dilué avec une solution injectable de chlorure de sodium à 9 mg/ml (0,9 %) et ensuite administré par perfusion intraveineuse. La reconstitution et la dilution doivent être effectuées conformément aux règles des bonnes pratiques, en particulier pour le respect de l'asepsie.

Dans la mesure où ce médicament est une protéine, la formation de particules peut se produire dans la solution reconstituée et les poches de perfusion finales diluées. Par conséquent, un filtre en ligne à faible liaison protéinique de 0,2 micron doit être utilisé pour l'administration. Il a été démontré que l'utilisation d'un filtre en ligne de 0,2 micron élimine les particules visibles et n'entraîne pas une perte apparente de protéine ou d'activité.

Déterminer le nombre de flacons à reconstituer en fonction du schéma posologique du patient individuel (mg/kg) et sortir les flacons requis du réfrigérateur afin de leur permettre d'atteindre la température ambiante (environ 30 minutes). Chaque flacon de Pombiliti est à usage unique.

Utilisez une technique aseptique.

Reconstitution



Reconstituer chaque flacon de 105 mg de Pombiliti avec 7,2 ml d'eau pour préparations injectables à l'aide d'une seringue dont le diamètre d'aiguille ne dépasse pas le calibre 18. Ajouter lentement l'eau pour préparations injectables au goutte-à-goutte, le long de la paroi du flacon et non directement sur la poudre lyophilisée. Incliner et faire doucement tourner chaque flacon. Ne pas retourner, remuer ou secouer le flacon. Le volume d'extraction apparaît comme une solution limpide à opalescente, incolore à légèrement jaune, exempte de particules étrangères et pratiquement exempte de particules, sous forme de particules blanches à translucides. Effectuer une inspection immédiate des flacons reconstitués pour détecter la présence éventuelle de particules et de décoloration. Ne pas utiliser si des particules étrangères autres que celles décrites ci-dessus sont observées lors de l'inspection immédiate ou si la solution est décolorée. Le pH de la solution reconstituée est d'environ 6,0.

Après reconstitution, il est recommandé de diluer rapidement les flacons (voir ci-dessous).

Dilution

Une fois reconstituée comme ci-dessus, la solution présente dans le flacon contient 15 mg de cipaglucosidase alfa par ml. Le volume reconstitué permet le retrait exact de 7,0 ml (équivalent à 105 mg) de chaque flacon. Il faut ensuite diluer de nouveau comme suit : retirer lentement la solution reconstituée de chaque flacon, y compris un volume inférieur à 7 ml si le flacon est partiellement rempli, jusqu'à ce que le volume pour la dose du patient soit obtenu, à l'aide d'une seringue munie d'une aiguille d'un diamètre inférieur à 18 gauge. La concentration finale recommandée de cipaglucosidase alfa dans les poches de perfusion varie de 0,5 mg/ml à 4 mg/ml. Retirer l'espace d'air à l'intérieur de la poche pour perfusion. Prélever également un volume égal de solution injectable de chlorure de sodium à 9 mg/ml (0,9 %), qui sera remplacé par Pombiliti reconstitué. Injecter lentement Pombiliti reconstitué directement dans la solution injectable de chlorure de sodium à 9 mg/ml (0,9 %). Retourner délicatement ou masser la poche pour perfusion pour mélanger la solution diluée. Ne pas secouer ou agiter excessivement la poche de perfusion.

La solution finale pour perfusion doit être administrée aussi près que possible du moment de sa préparation.

Tout médicament non utilisé ou déchet doit être éliminé conformément à la réglementation en vigueur.

Administration

La perfusion de Pombiliti doit commencer 1 heure après la prise des gélules de miglustat. En cas de retard de la perfusion, le début de la perfusion ne doit pas dépasser 3 heures après la prise de miglustat.

Le schéma posologique recommandé de Pombiliti est de 20 mg/kg de poids corporel, administré une fois toutes les deux semaines par perfusion intraveineuse.

Les perfusions doivent être administrées de manière incrémentielle. Il est recommandé de commencer l'administration de la perfusion à un débit initial de 1 mg/kg/h et de l'augmenter progressivement de 2 mg/kg/h toutes les 30 minutes en l'absence de signes de RLP (réactions liées à la perfusion), jusqu'à atteindre un débit maximal de 7 mg/kg/h.

