

▼ Medicinale sottoposto a monitoraggio addizionale. Ciò permetterà la rapida identificazione di nuove informazioni sulla sicurezza. Lei può contribuire segnalando qualsiasi effetto indesiderato riscontrato durante l'assunzione di questo medicinale. Vedere la fine del paragrafo "Quali possono essere gli effetti indesiderati di Pombiliti?" per le informazioni su come segnalare gli effetti indesiderati.

Informazione destinata ai pazienti

Legga attentamente questo foglio prima di prendere questo medicinale. Questo medicinale è stato prescritto appositamente per lei. Non lo dia ad altre persone, anche se i sintomi della malattia sono uguali ai suoi, perché potrebbe essere pericoloso. Conservi questo foglio. Potrebbe aver bisogno di leggerlo di nuovo.

Pombiliti®

Che cos'è Pombiliti e quando si usa ?

Cos'è Pombiliti

Pombiliti è un tipo di "terapia enzimatica sostitutiva" (ERT) utilizzata per il trattamento della malattia di Pompe a esordio tardivo negli adulti. Contiene il principio attivo "cipaglicosidasi alfa".

A cosa serve

Pombiliti viene sempre usato assieme a un altro farmaco chiamato miglustat 65 mg capsule rigide. È molto importante leggere anche il foglio illustrativo di miglustat 65 mg capsule rigide.

Per qualsiasi dubbio sui medicinali, si rivolga al medico o al farmacista.

Come agisce Pombiliti

Le persone affette dalla malattia di Pompe hanno bassi livelli dell'enzima alfa-glucosidasi acida (GAA). Questo enzima aiuta a controllare i livelli di glicogeno (un tipo di carboidrato) nel corpo.

Nella malattia di Pompe si accumulano elevate quantità di glicogeno nei muscoli del corpo. Questo impedisce ai muscoli, come quelli delle gambe che permettono di camminare, quelli presenti sotto i polmoni che aiutano a respirare e il muscolo cardiaco, di funzionare correttamente.

Pombiliti penetra nelle cellule dei muscoli interessati dalla malattia di Pompe. Quando entra nelle cellule, la cipaglicosidasi alfa agisce come l'enzima alfa-glucosidasi acida, aiutando a scomporre il glicogeno e a controllarne i livelli.

Soggetto a prescrizione medica.

Quando non si può assumere/usare Pombiliti?

Non deve prendere Pombiliti

- Se ha manifestato reazioni di ipersensibilità potenzialmente fatali a:
 - cipaglicosidasi alfa
 - miglustat
 - un qualsiasi altro componente di questo medicinale (elencato al paragrafo "Cos'è incluso in Pombiliti?").
- Se ha dovuto interrompere una precedente infusione e non ha potuto riprenderla a causa di reazioni di ipersensibilità potenzialmente fatali.



Quando è richiesta prudenza nella somministrazione/nell'uso di Pombiliti?

Si rivolga al medico, al farmacista o all'infermiere prima di usare Pombiliti.

Consulti immediatamente il medico o l'infermiere se manifesta, se ritiene di manifestare o se ha manifestato in passato una delle seguenti reazioni con un'altra terapia enzimatica sostitutiva:

- reazioni allergiche compresa anafilassi (reazione allergica grave) – per i sintomi delle reazioni pericolose per la vita, vedere più avanti il paragrafo “Quali possono essere gli effetti indesiderati di Pombiliti”;
- reazioni associate all'infusione durante la somministrazione del medicinale o nelle ore immediatamente successive – per i sintomi delle reazioni pericolose per la vita, vedere più avanti il paragrafo “Quali possono essere gli effetti indesiderati di Pombiliti”.

Informi il medico se ha avuto in passato una malattia cardiaca o polmonare. Queste condizioni possono peggiorare durante o subito dopo l'infusione con Pombiliti. Informi immediatamente il medico o l'infermiere se manifesta respiro affannoso, tosse, battito del cuore accelerato o irregolare o qualsiasi altro effetto correlato a queste condizioni.

Informi il medico anche in caso di gonfiore alle gambe o di gonfiore diffuso del corpo, eruzioni cutanee gravi o urine schiumose durante la minzione. Il medico deciderà se l'infusione di Pombiliti deve essere interrotta e le fornirà un trattamento medico adeguato. Il medico deciderà inoltre se potrà continuare a ricevere Pombiliti.

Pretrattamento farmacologico

Il medico potrebbe somministrarle altri medicinali prima di Pombiliti, tra cui:

- antistaminici e corticosteroidi per prevenire o ridurre le reazioni correlate all'infusione
- antipiretici per ridurre la febbre.

Guida di veicoli e utilizzo di macchinari

Questo medicinale può influenzare i tempi di reazione o la capacità di guidare e utilizzare strumenti o macchinari. Potrebbe avvertire capogiri, sonnolenza oppure potrebbe avere la pressione sanguigna bassa (ipotensione) dopo aver ricevuto Pombiliti o il pretrattamento farmacologico. Se ciò accade, non guidi né usi strumenti o macchinari.

Bambini e adolescenti

Questo medicinale non deve essere somministrato a pazienti di età inferiore ai 18 anni. Questo perché gli effetti di Pombiliti in associazione con miglustat in tale fascia d'età non sono noti.

Pombiliti contiene sodio

Questo medicinale contiene 10,5 mg di sodio (componente principale del sale da cucina) per flaconcino. Questo equivale allo 0,52% dell'assunzione massima giornaliera raccomandata con la dieta di un adulto.

Informi il medico o il farmacista se

- soffre di altre malattie,
- ha allergie o
- utilizza altri medicinali (compresi quelli da banco).



Si può assumere/usare Pombiliti durante la gravidanza o l'allattamento?

Contraccezione femminile e fertilità

Le pazienti di sesso femminile in età fertile devono utilizzare metodi contraccettivi affidabili durante l'uso e per 4 settimane dopo l'interruzione di entrambi i medicinali.

Gravidanza e allattamento al seno

Se è in corso una gravidanza, se sospetta o sta pianificando una gravidanza o se sta allattando con latte materno chieda immediatamente consiglio al medico o al farmacista prima di usare questo medicinale.

Non esistono dati relativi all'uso di Pombiliti in associazione con miglustat durante la gravidanza.

- Non deve ricevere Pombiliti e/o miglustat 65 mg in capsule rigide se è in gravidanza. Si assicuri di informare immediatamente il medico se è in gravidanza, sospetta di essere in gravidanza o sta pianificando una gravidanza. Potrebbero esserci rischi per il feto.
- Pombiliti in associazione con miglustat non deve essere somministrato a donne che in allattano al seno. Si dovrà decidere se interrompere il trattamento o interrompere l'allattamento.

Come usare Pombiliti?

Pombiliti viene somministrato da un medico o da un infermiere mediante fleboclisi in una vena (infusione endovenosa).

Informi il medico se desidera effettuare il trattamento a domicilio. Il medico deciderà, dopo una valutazione, se lei può sottoporsi all'infusione a domicilio di Pombiliti in sicurezza. Se manifesta un qualsiasi effetto indesiderato durante un'infusione di Pombiliti a domicilio, il personale incaricato può interrompere l'infusione e avviare il trattamento medico adeguato.

Pombiliti deve essere usato in associazione con miglustat. Usi soltanto le capsule di miglustat da 65 mg insieme a cipaglucosidasi alfa. **NON** usi le capsule di miglustat da 100 mg (si tratta di un medicinale diverso). Segua le istruzioni del medico e legga il foglio illustrativo di miglustat 65 mg capsule rigide per la dose raccomandata.

Quanto Pombiliti viene somministrato?

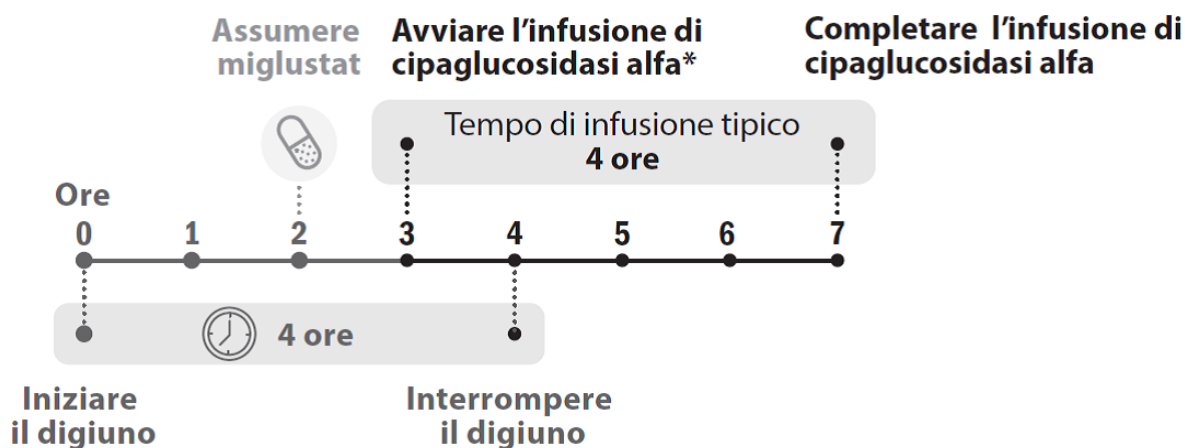
La quantità di medicinale che le verrà somministrata si basa sul peso corporeo. La dose iniziale raccomandata è di 20 mg per ogni chilogrammo di peso corporeo.

Quando e per quanto tempo viene somministrato Pombiliti?

- Il trattamento con Pombiliti ha luogo una volta ogni due settimane. Le capsule di miglustat da 65 mg vengono assunte lo stesso giorno di Pombiliti. Legga il foglio illustrativo di miglustat 65 mg capsule rigide per avere informazioni su come assumere miglustat.
- L'infusione di cipaglucosidasi alfa deve iniziare 1 ora dopo l'assunzione di miglustat 65 mg capsule rigide. In caso di ritardo, l'inizio dell'infusione non deve aver luogo oltre 3 ore dopo l'assunzione di miglustat.
- L'infusione di cipaglucosidasi alfa ha una durata di circa 4 ore.

Figura 1. Tempistica di somministrazione della dose





* L'infusione di cipaglicosidasi alfa deve iniziare 1 ora dopo l'assunzione delle capsule di miglustat. In caso di ritardo dell'infusione, l'inizio dell'infusione non deve avvenire oltre 3 ore dopo l'assunzione di miglustat.

Passaggio da un'altra terapia enzimatica sostitutiva (ERT)

Se attualmente è in trattamento con un'altra terapia enzimatica sostitutiva:

- il medico le indicherà quando interrompere l'altra terapia enzimatica sostitutiva prima di iniziare Pombiliti
- informi il medico quando ha completato l'ultima dose.

Se le viene somministrato più Pombiliti di quanto necessario

Se ha difficoltà a respirare, se avverte una sensazione di gonfiore o di battito cardiaco accelerato, potrebbe aver ricevuto una quantità in eccesso di Pombiliti. Informi immediatamente il medico. Un'eccessiva velocità di infusione di Pombiliti potrebbe causare sintomi correlati a un accumulo di liquidi nel corpo, tra cui respiro corto, battito cardiaco accelerato o gonfiore diffuso del corpo.

Se salta una dose di Pombiliti

Se ha saltato un'infusione, contatti il medico o l'infermiere appena possibile per fissare un nuovo appuntamento per ricevere la terapia con Pombiliti in associazione con miglustat 24 ore dopo l'ultima assunzione di miglustat.

Se interrompe il trattamento con Pombiliti

Parli con il medico se desidera interrompere il trattamento con Pombiliti. I sintomi della malattia potrebbero peggiorare se interrompe il trattamento.

Non si scosti dal dosaggio prescritto. Se ritiene che l'effetto del medicinale sia troppo debole o troppo forte, parli con il medico o il farmacista.

Quali effetti collaterali può avere Pombiliti?



Come tutti i medicinali, questo medicinale può causare effetti indesiderati sebbene non tutte le persone li manifestino.

Pombiliti viene usato con miglustat e gli effetti indesiderati possono verificarsi con entrambi i medicinali. Gli effetti indesiderati sono stati osservati principalmente durante o poco dopo l'infusione di Pombiliti (effetti correlati all'infusione). Informi immediatamente il medico se manifesta una reazione correlata all'infusione o una reazione allergica. Alcune di queste reazioni possono diventare gravi e potenzialmente fatali. Per prevenire tali reazioni, il medico può somministrarle dei medicinali prima dell'infusione.

Reazioni correlate all'infusione

La maggior parte delle reazioni correlate all'infusione è di entità lieve o moderata. I sintomi delle reazioni correlate all'infusione possono includere difficoltà respiratorie, gonfiore, febbre, brividi, vertigini, arrossamento della pelle, prurito ed eruzione cutanea.

Reazioni allergiche

Le reazioni allergiche possono includere sintomi quali eruzioni cutanee in qualsiasi parte del corpo, occhi gonfi, prolungata difficoltà respiratoria, tosse, gonfiore delle labbra, della lingua o della gola, prurito della pelle e orticaria.

Molto comune (interessa più di un paziente su 10)

- Mal di testa

Comune (interessa da 1 a 10 pazienti su 100)

- Grave reazione allergica potenzialmente letale (reazione anafilattica)
- Disturbi del gusto
- Sensazione di vertigine
- Tremore
- Sensazione di sonnolenza
- Sensazione di intorpidimento, formicolio (parestesia)
- Battito cardiaco accelerato
- Arrossamento cutaneo
- Ipertensione
- Ipotensione
- Respiro affannoso
- Tosse
- Diarrea
- Sensazione di malessere (nausea)
- Dolore addominale
- Flatulenza
- Gonfiore
- Vomito
- Stipsi
- Orticaria
- Prurito
- Eruzione cutanea
- Sudorazione eccessiva
- Crampi muscolari dolorosi
- Dolori muscolari



- Debolezza muscolare
- Dolori articolari
- Affaticamento
- Febbre
- Brividi
- Sensazione di fastidio al torace
- Gonfiore nella zona del corpo in cui è stato inserito l'ago
- Dolore
- Gonfiore alle mani, ai piedi, alle caviglie e alle gambe

Non comune (interessa da 1 a 10 pazienti su 1 000)

- Reazione allergica
- Impossibilità di mantenere l'equilibrio
- Sensazione di bruciore
- Emicrania
- Sensazione di svenimento
- Insolito pallore della pelle
- Asma
- Respiro sibilante
- Fastidio alla bocca e alla gola
- Gola gonfia
- Malessere gastrico
- Indigestione
- Dolore o contrazioni dolorose nell'esofago
- Dolore o fastidio alla bocca
- Lingua gonfia
- Alterazione del colore della pelle
- Tumefazione cutanea
- Dolore nella zona tra le costole e l'anca
- Affaticamento muscolare
- Rigidità muscolare
- Debolezza
- Dolore alle guance, alle gengive, alle labbra, al mento
- Dolore nella zona del corpo in cui è stato inserito l'ago
- Sensazione generale di malessere
- Nervosismo
- Dolore al torace
- Tumefazione facciale
- Variazioni della temperatura corporea
- Graffi o danni alla pelle
- Diminuzione delle piastrine o di un tipo di globuli bianchi, riscontrata con gli esami

Se manifesta un qualsiasi effetto indesiderato, si rivolga al medico o al farmacista. Ciò include, in particolare, i possibili effetti indesiderati che non sono elencati in questo foglio.

Di che altro occorre tener conto?



Il medico, il farmacista, l'infermiere o il caregiver (uso a domicilio) è responsabile della conservazione di questo medicinale e dello smaltimento corretto dei flaconcini aperti. Le informazioni seguenti sono destinate agli operatori sanitari.

Periodo di validità

Non usi questo medicinale dopo la data di scadenza che è riportata sul flaconcino e sulla scatola dopo "Scad". La data di scadenza si riferisce alla data dell'ultimo giorno di quel mese.

Periodo di validità dopo la diluizione

Dopo la diluizione, si raccomanda l'uso immediato. Tuttavia, è stato dimostrato che è possibile conservare la sacca per infusione endovenosa con Pombiliti per 6 ore a 20 °C - 25°C e per 24 ore a 2 °C - 8 °C. Non congelare il flaconcino ricostituito o la soluzione di cipaglicosidasi alfa diluita nella sacca per infusione.

Precauzioni per la conservazione

Conservare in frigorifero (2 °C – 8 °C).

Tenere il flaconcino nell'imballaggio esterno per proteggere il medicinale dalla luce.

Tenere fuori dalla portata dei bambini.

Ulteriori informazioni

Non getti alcun medicinale nell'acqua di scarico e nei rifiuti domestici. Chiedi al farmacista come eliminare i medicinali che non usa più. Questo aiuterà a proteggere l'ambiente.

Il medico o il farmacista potrà darle informazioni aggiuntive. Queste persone posseggono le informazioni complete per gli operatori sanitari.

Cosa contiene Pombiliti?

Pombiliti è una polvere per concentrato per soluzione per infusione contenuta in un flaconcino.

Pombiliti è una polvere da bianca a lievemente giallastra. Dopo la ricostituzione, appare come una soluzione da cristallina a opalescente, da incolore a lievemente gialla, priva di particelle estranee e praticamente priva di particolato sotto forma di particelle da bianche a traslucide. La soluzione ricostituita deve essere ulteriormente diluita in una sacca per infusione.

Dopo la ricostituzione, il concentrato nel flaconcino contiene 15 mg di cipaglicosidasi alfa per mL. La concentrazione finale raccomandata della soluzione completamente diluita nella sacca per infusione varia da 0,5 mg/mL a 4 mg/mL.

Principi attivi

Il principio attivo è cipaglicosidasi alfa. Un flaconcino contiene 105 mg di cipaglicosidasi alfa*.

* L'α-glucosidasi acida umana con N-glicani bis-fosforilati (bis-M6P) è prodotta in cellule ovariche di criceto cinese (CHO) mediante tecnologia del DNA ricombinante.

Sostanze ausiliarie

Sodio citrato diidrato (E331), acido citrico monoidrato (E330), mannitolo (E421) e polisorbato 80 (E433).

Numero dell'omologazione



67804 (Swissmedic)

Dove è ottenibile Pombiliti? Quali confezioni sono disponibili?

Nelle farmacie presentando una prescrizione medica esclusivamente monouso.

Confezioni da 1 flaconcino, 10 flaconcini o 25 flaconcini.

Titolare dell'omologazione

Amicus Therapeutics Switzerland GmbH
Seefeldstrasse 69
CH-8008 Zurigo
Svizzera

Questo foglietto illustrativo è stato controllato l'ultima volta nel maggio 2025 dall'autorità competente in materia di medicinali (Swissmedic).

Le informazioni seguenti sono destinate esclusivamente agli operatori sanitari.

Istruzioni per l'uso: ricostituzione, diluizione e somministrazione

Pombiliti deve essere ricostituito con acqua per preparazioni iniettabili, quindi diluito con una soluzione iniettabile di sodio cloruro 9 mg/mL (0,9%) e infine somministrato mediante infusione endovenosa. La ricostituzione e la diluizione devono essere eseguite in conformità alle norme di buona pratica, soprattutto riguardo all'asepsi.

Poiché questo medicinale è una proteina, può verificarsi la formazione di particolato nella soluzione ricostituita e in quella finale diluita nella sacca per infusione. Pertanto, per la somministrazione è necessario usare un filtro in linea a basso legame proteico da 0,2 micron. È stato dimostrato che l'uso di un filtro in linea da 0,2 micron rimuove le particelle visibili e non comporta una perdita apparente di proteina o di attività.

Stabilire il numero di flaconcini da ricostituire in base al regime di dosaggio del paziente (mg/kg) e rimuovere i flaconcini necessari dal frigorifero al fine di consentire loro di raggiungere la temperatura ambiente (circa 30 minuti). Ogni flaconcino di Pombiliti è esclusivamente monouso.

Utilizzare una tecnica asettica.

Ricostituzione

Ricostituire ogni flaconcino da 105 mg di Pombiliti con 7,2 mL di acqua per preparazioni iniettabili usando una siringa con un ago di diametro non superiore a 18 gauge. Aggiungere l'acqua per preparazioni iniettabili lentamente, facendone scorrere le gocce lungo le pareti del flaconcino e non direttamente sulla polvere liofilizzata. Inclinare e ruotare delicatamente ogni flaconcino. Non capovolgere, agitare o scuotere il flaconcino. Il volume di estrazione appare come una soluzione da cristallina a opalescente, da incolore a lievemente gialla, priva di particelle estranee e praticamente priva di particolato sotto forma di particelle da bianche a traslucide. Ispezionare immediatamente i flaconcini ricostituiti per verificare la presenza di particolato e alterazioni del colore. Non usare se all'esame immediato si osservano particelle estranee diverse da quanto descritto sopra o se il colore della soluzione ricostituita è alterato. Il pH della soluzione



ricostituita è circa 6.0.

Dopo la ricostituzione, è consigliabile diluire tempestivamente i flaconcini (vedere di seguito).

Diluizione

Una volta ricostituita come indicato sopra, la soluzione ricostituita nel flaconcino contiene 15 mg di cipaglicosidasi alfa per mL. Il volume ricostituito consente il prelievo preciso di 7,0 mL (pari a 105 mg) da ciascun flaconcino. Questo deve essere poi ulteriormente diluito come segue: usando una siringa con ago di diametro non superiore a 18 gauge, prelevare lentamente la soluzione ricostituita dai flaconcini, includendone una quantità inferiore a 7,0 mL per il flaconcino parziale, fino a ottenere la dose del paziente. La concentrazione finale raccomandata di cipaglicosidasi alfa nelle sacche per infusione varia da 0,5 mg/mL a 4 mg/mL. Rimuovere l'aria presente all'interno della sacca per infusione. Inoltre, prelevare dalla soluzione iniettabile un volume di sodio cloruro pari a 9 mg/mL (0,9%) che sarà sostituito dal Pombiliti ricostituito. Iniettare lentamente Pombiliti ricostituito direttamente nella soluzione iniettabile di sodio cloruro 9 mg/mL (0,9%). Capovolgere o massaggiare delicatamente la sacca di infusione per miscelare la soluzione diluita. Non scuotere né agitare eccessivamente la sacca per infusione.

La soluzione finale per l'infusione deve essere somministrata appena possibile dopo la preparazione.

Il medicinale non utilizzato e i rifiuti derivati da questo medicinale devono essere smaltiti in conformità alle normative locali vigenti.

Somministrazione

L'infusione di Pombiliti deve iniziare 1 ora dopo l'assunzione delle capsule di miglustat. In caso di ritardo dell'infusione, l'inizio non deve avvenire oltre 3 ore dopo l'assunzione di miglustat.

La dose raccomandata di Pombiliti è di 20 mg/kg di peso corporeo, somministrati una volta ogni 2 settimane mediante infusione endovenosa.

Le infusioni devono essere somministrate in modo incrementale. Si raccomanda di avviare l'infusione a una velocità iniziale di 1 mg/kg/ora e in seguito gradualmente aumentarla di 2 mg/kg/ora ogni 30 minuti, se non ci sono segni di reazioni associate all'infusione (IAR), fino a raggiungere un massimo di 7 mg/kg/ora.

