

Kurzbericht Arzneimittelzulassung vom 25.10.2024

Pombiliti® (Wirkstoff: Cipaglucosidase alfa)

Zulassung in der Schweiz: 04.07.2024

Pulver für Konzentrat zur Herstellung einer Infusionslösung zur Behandlung von Erwachsenen mit Morbus Pompe der späten Verlaufsform

Über das Arzneimittel

Pombiliti enthält den Wirkstoff Cipaglucosidase alfa zur langfristigen Enzymersatztherapie bei Erwachsenen, die an einer späten Verlaufsform des Morbus Pompe leiden. Grund dieser Erkrankung ist ein genetisch bedingter Mangel am Enzym «saure alpha-Glucosidase» in Muskelzellen. Dieses Enzym ist wichtig für den Abbau von Glykogen. Glykogen ist eine körpereigene Speicherform von Zucker. Wenn Glykogen nicht abgebaut werden kann, kommt es zu einer Anreicherung von Glykogen in den verschiedenen Muskelzellen, wie z.B. des Herzes oder des Zwerchfells. In der Folge kommt es bei diesen Patientinnen und Patienten zu Herz- und Atembeschwerden sowie zu Muskelschwäche.

Pombiliti wird mit einem weiteren Arzneimittel (Miglustat) kombiniert. Pombiliti gelangt in die betroffenen Muskelzellen und unterstützt dort den Abbau von Glykogen.

Da es sich bei Morbus Pompe um eine seltene und lebensbedrohende Krankheit handelt, wurde das Arzneimittel Pombiliti als «Orphan Drug» zugelassen. Mit «Orphan Drug» werden wichtige Arzneimittel für seltene Krankheiten bezeichnet.

Swissmedic hat Pombiliti gemäss Artikel 13 des Heilmittelgesetzes (HMG) zugelassen. Das bedeutet, dass das Arzneimittel bereits in mindestens einem anderen Land mit vergleichbarer Arzneimittelkontrolle zugelassen ist.

In diesem Fall berücksichtigt Swissmedic die Ergebnisse der von ausländischen Arzneimittelbehörden durchgeführten Prüfungen, sofern bestimmte Anforderungen erfüllt sind. Es geht um Prüfungen zur Qualität, Wirksamkeit und Sicherheit des Arzneimittels und inwieweit die Ergebnisse für die Schweiz übernommen werden können. Die Berücksichtigung der Ergebnisse ausländischer Zulassungsverfahren soll dazu beitragen, dass im Ausland bereits zugelassene Arzneimittel den Patientinnen und Patienten in der Schweiz möglichst rasch zur Verfügung stehen.

Für die Zulassung von Pombiliti in der Schweiz hat Swissmedic die Begutachtung und den Zulassungsentscheid der europäischen Arzneimittelbehörde (EMA; Reference Number EMA 950090/2022) übernommen und lediglich eine begrenzte wissenschaftliche Begutachtung durchgeführt.

Somit verweist Swissmedic im SwissPAR (Swiss Public Assessment Report) und im daraus aufbauenden Kurzbericht Arzneimittelzulassung auf den öffentlich verfügbaren

Beurteilungsbericht der Referenzbehörde:
www.ema.europa.eu.

Weitere Informationen zum Arzneimittel

Information für medizinisches Fachpersonal:
[Fachinformation Pombiliti®](#)

Weitere Fragen beantworten Gesundheitsfachpersonen.

Information für Patientinnen und Patienten (Packungsbeilage): [Patientinnen- und Patienteninformation Pombiliti®](#)

Der Stand dieser Information entspricht demjenigen des SwissPAR. Neue Erkenntnisse über das zugelassene Arzneimittel fließen nicht in den Kurzbericht Arzneimittelzulassung ein.

In der Schweiz zugelassene Arzneimittel werden von Swissmedic überwacht. Bei neu festgestellten unerwünschten Arzneimittelwirkungen oder anderen sicherheitsrelevanten Signalen leitet Swissmedic die notwendigen Massnahmen ein. Neue Erkenntnisse, welche die Qualität, die Wirksamkeit oder die Sicherheit dieses Medikaments beeinträchtigen könnten, werden von Swissmedic erfasst und publiziert. Bei Bedarf wird die Arzneimittelinformation angepasst.