

Rapport succinct d'autorisation du 25.10.2024

Pombiliti® (principe actif : cipaglucoSIDase alfa)

Autorisation en Suisse : 04.07.2024

Poudre pour solution à diluer pour perfusion destinée au traitement des adultes atteints de la forme tardive de la maladie de Pompe

À propos du médicament

Pombiliti, dont le principe actif est la cipaglucoSIDase alfa, est destiné au traitement enzymatique substitutif à long terme chez les adultes atteints de la forme tardive de la maladie de Pompe. Cette maladie est due à un déficit d'origine génétique en l'enzyme alpha-glucosidase acide dans les cellules musculaires. Cette enzyme joue un rôle important dans la dégradation du glycogène. Le glycogène est une forme sous laquelle le sucre est stocké dans l'organisme. Lorsque le glycogène ne peut pas être dégradé, il s'accumule dans les différentes cellules musculaires, par exemple dans celles du cœur ou du diaphragme. Les patients touchés développent alors des troubles cardiaques et respiratoires ainsi qu'une faiblesse musculaire.

Pombiliti est utilisé en association avec un autre médicament (Miglustat). Pombiliti pénètre dans les cellules musculaires touchées pour aider à la dégradation du glycogène dans ces dernières.

La maladie de Pompe étant une maladie rare et mettant en jeu le pronostic vital, le médicament Pombiliti a été autorisé en tant que médicament orphelin (*orphan drug*). Les médicaments orphelins sont des médicaments importants contre des maladies rares.

Pombiliti a été autorisé par Swissmedic en vertu de l'article 13 de la loi sur les produits thérapeutiques (LPT). Cela signifie que le médicament est déjà autorisé dans au moins un autre pays ayant institué un contrôle des médicaments équivalent.

Pour autant que certaines exigences particulières soient respectées, Swissmedic prend dans ce cas en considération les résultats des examens effectués par les autorités étrangères de contrôle des médicaments concernant la qualité, l'efficacité et la sécurité du médicament en question ainsi que la mesure dans laquelle ces résultats sont transposables à la Suisse. La prise en considération des résultats de procédures d'autorisation étrangères vise à contribuer à ce que des médicaments déjà autorisés à l'étranger soient mis le plus rapidement possible à la disposition des patients en Suisse.

Pour autoriser Pombiliti en Suisse, Swissmedic a repris l'examen et la décision d'autorisation de l'Agence européenne des médicaments (EMA; numéro de référence EMA/950090/2022) et a seulement procédé à une expertise scientifique restreinte.

Aussi Swissmedic renvoie-t-il au rapport d'évaluation public de l'autorité de référence dans le Swiss Public Assessment Report

(SwissPAR) et dans le rapport succinct d'autorisation établi à partir de ce dernier : www.ema.europa.eu.

Informations complémentaires sur le médicament

Information pour les personnes exerçant une profession médicale : [information professionnelle de Pombiliti®](#)

Information destinée aux patients (notice d'emballage) : [information destinée aux patients de Pombiliti®](#)

Les professionnels de santé sont là pour répondre à toute autre question.

Les présentes informations sont basées sur les informations disponibles à la date de publication du SwissPAR. Les nouvelles connaissances concernant le médicament autorisé ne sont pas intégrées dans le rapport succinct d'autorisation.

Les médicaments autorisés en Suisse sont sous la surveillance de Swissmedic. Swissmedic prendra les mesures qui s'imposent en cas de constatation de nouveaux effets indésirables ou en présence d'autres signaux de sécurité. De plus, Swissmedic recensera et publiera toute nouvelle connaissance susceptible d'avoir un impact sur la qualité, l'efficacité ou la sécurité d'emploi de ce médicament. Au besoin, l'information sur le médicament sera adaptée.