

B. ULOTKA DLA PACJENTA

Ulotka dołączona do opakowania: informacja dla użytkownika

Myozyme 50 mg proszek do przygotowania koncentratu do sporządzania roztworu do infuzji Aglukozydaza alfa

Należy uważnie zapoznać się z treścią ulotki przed zastosowaniem leku, ponieważ zawiera ona informacje ważne dla pacjenta.

- Należy zachować tę ulotkę, aby w razie potrzeby móc ją ponownie przeczytać.
- W razie jakichkolwiek wątpliwości, należy zwrócić się do lekarza, farmaceuty lub pielęgniarki.
- Jeśli u pacjenta wystąpią jakiegokolwiek objawy niepożądane, w tym wszelkie objawy niepożądane niewymienione w tej ulotce, należy powiedzieć o tym lekarzowi, farmaceucie lub pielęgniarce. Patrz punkt 4.

Spis treści ulotki

1. Co to jest lek Myozyme i w jakim celu się go stosuje
2. Informacje ważne przed zastosowaniem leku Myozyme
3. Jak stosować lek Myozyme
4. Możliwe działania niepożądane
5. Jak przechowywać lek Myozyme
6. Zawartość opakowania i inne informacje

1. Co to jest lek Myozyme i w jakim celu się go stosuje

Lek Myozyme stosuje się w leczeniu dorosłych, dzieci i młodzieży w każdym wieku, u których potwierdzono rozpoznanie choroby Pompego.

U osób z chorobą Pompego występuje niedobór enzymu zwanego alfa-glikozydazą. Enzym ten ułatwia kontrolę ilości glikogenu (jednego z węglowodanów) w organizmie. Glikogen jest źródłem energii, jednak u pacjentów z chorobą Pompego glikogen występuje w nadmiernej ilości.

Lek Myozyme zawiera sztucznie otrzymywany enzym zwany alglukozydazą alfa, który umożliwia uzupełnienie niedoboru naturalnego enzymu u pacjentów z chorobą Pompego.

2. Informacje ważne przed zastosowaniem leku Myozyme

Kiedy nie stosować leku Myozyme:

Jeśli u pacjenta wystąpiły zagrażające życiu reakcje alergiczne (nadwrażliwości) na alglukozydazę alfa lub którykolwiek z pozostałych składników tego leku (wymienionych w punkcie 6), a ponowne podanie leku nie powiodło się. Do zagrażających życiu objawów reakcji alergicznych należą między innymi niskie ciśnienie tętnicze, bardzo szybki rytm serca, trudności w oddychaniu, wymioty, opuchlizna twarzy, pokrzywka lub wysypka.

Ostrzeżenia i środki ostrożności

Podczas leczenia lekiem Myozyme lub przez kilka godzin od zakończenia jego podawania może wystąpić reakcja związana z infuzją. Reakcję tę charakteryzują różne objawy, takie jak niskie ciśnienie tętnicze, dyskomfort w klatce piersiowej, uczucie ucisku w gardle, obrzęk twarzy, warg lub języka (obrzęk naczynioruchowy), pokrzywka, zawroty głowy, wysypka, świąd skóry, nudności, wymioty, kaszel i skurcz oskrzeli (wykaz wszystkich reakcji związanych z infuzją, patrz punkt 4). Reakcja związana z infuzją niekiedy może być bardzo ciężka. Jeśli u pacjenta wystąpi tego rodzaju reakcja, należy o niej **bezzwłocznie powiadomić lekarza**. Aby zapobiec reakcji alergicznej, konieczna może być premedykacja, np. podanie leków przeciwhistaminowych i (lub) kortykosteroidów bądź leków obniżających gorączkę (przeciwgorączkowych).

Podczas badań, lekarze stosowali leki hamujące działanie układu odpornościowego w celu zmniejszenia produkcji przeciwciał. Ze względu na chorobę Pompego istnieje ryzyko wystąpienia

ciężkiego zakażenia dróg oddechowych lub płuc. Stosowanie tych leków immunosupresyjnych może dodatkowo zwiększyć to ryzyko.

W przypadku wystąpienia na skórze ciężkich zmian wrzodziejących, należy powiadomić o tym lekarza. W przypadku wystąpienia obrzęku kończyn dolnych lub obrzęku uogólnionego, należy powiadomić o tym lekarza. Lekarz powinien rozważyć przerwanie stosowania leku Myozyme i rozpocząć odpowiednie leczenie. Lekarz powinien rozważyć zagrożenia i korzyści wynikające z ponownego zastosowania leku Myozyme.

Lek Myozyme a inne leki

Należy powiadzić lekarzowi lub farmaceutce o wszystkich lekach przyjmowanych przez pacjenta obecnie lub ostatnio, a także o lekach, które pacjent planuje przyjmować.

Ciąża, karmienie piersią i wpływ na płodność

Brak jest doświadczenia w stosowaniu leku Myozyme u kobiet w ciąży. Nie należy podawać leku Myozyme w okresie ciąży, jeśli nie jest to bezwzględnie konieczne. Podczas stosowania leku Myozyme zaleca się przerwanie karmienia piersią. Jeśli pacjentka jest w ciąży lub karmi piersią, przypuszcza że może być w ciąży lub gdy planuje mieć dziecko, powinna poradzić się lekarza lub farmaceuty przed zastosowaniem tego leku.

Prowadzenie pojazdów i obsługiwanie maszyn

Po infuzji leku Myozyme należy zachować ostrożność podczas prowadzenia pojazdów i obsługiwania maszyn, gdyż możliwe jest odczuwanie zawrotów głowy.

Lek Myozyme zawiera sól

Ten lek zawiera mniej niż 1 mmol sodu (23 mg) w fiolce, jest więc zasadniczo „wolny od sodu”.

3. Jak stosować lek Myozyme

Lek Myozyme będzie podawany pod nadzorem lekarza posiadającego doświadczenie w leczeniu choroby Pompego.

Podawana dawka zależy od masy ciała. Zalecana dawka leku Myozyme wynosi 20 mg/kg masy ciała. Dawka ta będzie podawana raz na 2 tygodnie.

Stosowanie u dzieci i młodzieży

Zalecana dawka leku Myozyme u dzieci i młodzieży jest taka sama jak u dorosłych.

Instrukcja właściwego użycia

Lek Myozyme podaje się w kroplówce (infuzji dożylniej). Lek jest dostarczany w postaci proszku, który przed podaniem miesza się z wodą do wstrzykiwań.

Zastosowanie większej niż zalecana dawki leku Myozyme

Nie odnotowano przypadku przedawkowania leku Myozyme.

Pominięcie zastosowania leku Myozyme

W przypadku pominięcia infuzji należy skontaktować się z lekarzem.

W razie jakichkolwiek dalszych wątpliwości związanych ze stosowaniem tego leku, należy zwrócić się do lekarza, farmaceuty lub pielęgniarki.

4. Możliwe działania niepożądane

Jak każdy lek, lek ten może powodować działania niepożądane, chociaż nie u każdego one wystąpią.

Działania niepożądane najczęściej obserwowano podczas leczenia lub krótko po jego zakończeniu („reakcje związane z infuzją”). Niektóre działania niepożądane związane z infuzją miały znaczne nasilenie lub zagrażały życiu. U niektórych pacjentów opisywano reakcje zagrażające życiu, w tym bardzo ciężkie, uogólnione reakcje alergiczne i wstrząs anafilaktyczny. Do objawów takich reakcji należą niskie ciśnienie tętnicze, bardzo szybki rytm serca, trudności w oddychaniu, wymioty, opuchlizna twarzy, warg lub języka, pokrzywka lub wysypka. U niektórych pacjentów wystąpiły działania niepożądane związane z wlewem leku, pod postacią objawów grypopodobnych, które trwały przez kilka dni od zakończenia wlewu.

Jeśli u pacjenta wystąpi którykolwiek z niżej wymienionych objawów, należy **bezzwłocznie powiadomić lekarza**. Aby zapobiec reakcji alergicznej, konieczna może być premedykacja, np. podanie leków przeciwhistaminowych i (lub) kortykosteroidów bądź leków obniżających gorączkę (przeciwgorączkowych).

Bardzo często: mogą wystąpić częściej niż u 1 na 10 osób

- Pokrzywka
- Wysypka
- Przyspieszenie rytmu serca
- Nagłe zaczerwienienie twarzy („uderzenia gorąca”)
- Gorączka lub podwyższona temperatura ciała
- Kaszel
- Zwiększenie częstości oddychania
- Wymioty
- Małe stężenie tlenu we krwi

Często: mogą wystąpić nie częściej niż u 1 na 10 osób

- Bładość
- Zwiększone lub nieprawidłowo wysokie ciśnienie tętnicze
- Sinawe zabarwienie skóry
- Dreszcze
- Pobudzenie
- Drżenia
- Ból głowy
- Mrowienie
- Ból lub miejscowy odczyn wokół miejsca podawania infuzji
- Zawroty głowy
- Drażliwość
- Świąd skóry
- Odruchy wymiotne
- Obrzęk twarzy, obrzęk gardła lub silny obrzęk obejmujący twarz, gardło i język w następstwie ciężkiej reakcji alergicznej
- Obrzęk kończyn górnych i dolnych
- Nudności
- Dyskomfort w klatce piersiowej
- Ucisk w gardle
- Biegunka
- Zmęczenie
- Ból mięśni
- Skurcze mięśni
- Ciężkie wrzodziejące zmiany skórne
- Zaczerwienienie skóry

Częstość nieznaną: częstość nie może być określona na podstawie dostępnych danych

- Obrzęk wokół oczu
- Nieprawidłowe szmery oddechowe, w tym świst
- Trudności w oddychaniu (w tym duszność)
- Zimne kończyny (np. dłonie, stopy)
- Niskie ciśnienie tętnicze
- Zwężenie naczyń krwionośnych zmniejszające przepływ krwi
- Nagły skurcz oskrzeli ograniczający przepływ gazów oddechowych (skurcz oskrzeli)
- Uczucie gorąca
- Zwiększona potliwość
- Łzawienie
- Marmurkowatość skóry
- Niepokój
- Świszczący oddech
- Spowolnienie rytmu serca
- Zatrzymanie akcji serca
- Ból w klatce piersiowej (nie serca)
- Zapalenie błon okrywających gałkę oczną i powiekę
- Ból brzucha
- Ból stawów
- Chwilowe wstrzymanie lub nagłe zatrzymanie oddychania
- Utrata białka z moczem
- Zespół nerczycowy: obrzęk kończyn dolnych, uogólniony obrzęk i utrata białka z moczem
- Obrzęk i zgrubienie skóry w miejscu infuzji w przypadku wydostania się leku poza naczynia krwionośne

Zgłaszanie działań niepożądanych

Jeśli wystąpią jakiegokolwiek objawy niepożądane, w tym wszelkie objawy niepożądane niewymienione w ulotce, należy powiedzieć o tym lekarzowi, farmaceucie lub pielęgniarce. Działania niepożądane można zgłaszać bezpośrednio do Departamentu Monitorowania Niepożądanych Działań Produktów Leczniczych Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych, Al. Jerozolimskie 181C, PL-02 222 Warszawa, Tel.: + 48 22 49 21 301, Faks: + 48 22 49 21 309, e-mail: ndl@urpl.gov.pl
Dzięki zgłaszaniu działań niepożądanych można będzie zgromadzić więcej informacji na temat bezpieczeństwa stosowania leku.

5. Jak przechowywać lek Myozyme

Lek należy przechowywać w miejscu niewidocznym i niedostępnym dla dzieci.

Nie stosować tego leku po upływie terminu ważności zamieszczonego na etykiecie po napisie „EXP”. Termin ważności oznacza ostatni dzień podanego miesiąca.

Przechowywać w lodówce (2°C – 8°C).

Po rozcieńczeniu zaleca się bezpośrednie wykorzystanie, jednakże stabilność chemiczna i biologiczna została wykazana dla okresu 24-godzinnego w temperaturze od 2°C do 8°C podczas przechowywania produktu leczniczego w miejscu chronionym przed światłem.

Leków nie należy wyrzucać do kanalizacji ani domowych pojemników na odpadki. Należy zapytać farmaceutę, jak usunąć leki, których się już nie używa. Takie postępowanie pomoże chronić środowisko.

6. Zawartość opakowania i inne informacje

Co zawiera lek Myozyme

-Substancją czynną leku jest alglukozydaza alfa. Jedna fiolka zawiera 50 mg alglukozydazy alfa. Po rozpuszczeniu roztwór zawiera 5 mg alglukozydazy alfa na ml, natomiast po rozcieńczeniu stężenie wynosi od 0,5 mg do 4 mg/ml.

-Pozostałe składniki to:

- mannitol (E421)
- sodu diwodorofosforan jednowodny (E339)
- disodu fosforan siedmiowodny (E339)
- polisorbat 80 (E433).

Jak wygląda lek Myozyme i co zawiera opakowanie

Lek Myozyme to proszek do przygotowania koncentratu do sporządzania roztworu do infuzji znajdujący się w fiolce (50 mg w fiolce). Każde opakowanie zawiera 1, 10 lub 25 fiolek. Nie wszystkie rodzaje opakowań muszą znajdować się w obrocie.

Proszek jest biały lub prawie biały. Po przygotowaniu roztwór jest przezroczysty, bezbarwny lub bladożółty i może zawierać cząstki stałe. Przygotowany roztwór należy następnie dalej rozcieńczyć.

Podmiot odpowiedzialny i wytwórca

Podmiot odpowiedzialny

Genzyme Europe B.V., Paasheuvelweg 25, 1105 BP Amsterdam, Holandia

Wytwórca

Genzyme Ltd., 37 Hollands Road, Haverhill, Suffolk CB9 8PU, Wielka Brytania

Genzyme Ireland Ltd., IDA Industrial Park, Old Kilmeaden Road, Waterford, Irlandia

W celu uzyskania bardziej szczegółowych informacji należy zwrócić się do miejscowego przedstawiciela podmiotu odpowiedzialnego:

**België/Belgique/Belgien/
Luxembourg/Luxemburg**
Sanofi Belgium
Tél/Tel: + 32 2 710 54 00

България
SANOFI BULGARIA EOOD
Тел.: +359 (0)2 970 53 00

Česká republika
sanofi-aventis, s.r.o.
Tel: +420 233086 111

Danmark
sanofi A/S
Tlf: +45 45 16 70 00

Deutschland
Sanofi-Aventis Deutschland GmbH
Tel.: 0800 04 36 996
Tel. aus dem Ausland: +49 69 305 70 13

Eesti
sanofi-aventis Estonia OÜ
Tel. +372 6 273 488

Ελλάδα
sanofi-aventis AEBE
Τηλ: +30 210 900 1600

España
sanofi-aventis, S.A.
Tel: +34 93 485 94 00

France
sanofi-aventis France
Tél: 0 800 222 555
Appel depuis l'étranger: +33 1 57 63 23 23

Hrvatska
sanofi-aventis Croatia d.o.o.
Tel: +385 1 600 34 00

Ireland
Sanofi-aventis Ireland Ltd. T/A SANOFI
Tel: +353 (0) 1 403 56 00

Ísland
Vistor hf.
Sími: +354 535 7000

Magyarország
SANOFI-AVENTIS Zrt.
Tel: +36 1 505 0050

Malta
Sanofi-Aventis Malta Ltd
Tel: +356 21493022

Nederland
Genzyme Europe B.V.
Tel: +31 20 245 4000

Norge
sanofi-aventis Norge AS
Tlf: + 47 67 10 71 00

Österreich
sanofi-aventis GmbH
Tel: + 43 1 80 185 – 0

Polska
sanofi-aventis Sp. z o.o.
Tel.: +48 22 280 00 00

Portugal
Sanofi – Produtos Farmacêuticos, Lda.
Tel: +351 21 35 89 400

România
Sanofi Romania SRL
Tel: +40 (0) 21 317 31 36

Slovenija
sanofi-aventis d.o.o.
Tel: +386 1 560 4800

Slovenská republika
sanofi-aventis Pharma Slovakia s.r.o.
Tel.: +421 2 33 100 100

Suomi/Finland
Sanofi Oy
Puh/Tel: + 358 201 200 300

Sverige
Sanofi AB
Tel: +46 (0)8 634 50 00

Italia
Sanofi S.p.A.
Tel: +39 059 349 811

United Kingdom
Sanofi
Tel +44 (0) 845 372 7101

Latvija
sanofi-aventis Latvia SIA
Tel: +371 67 33 24 51

Κύπρος
sanofi-aventis Cyprus Ltd.
Τηλ: +357 22 871600

Lietuva
UAB „SANOFI-AVENTIS LIETUVA“
Tel. +370 5 275 5224

Data ostatniej aktualizacji ulotki: listopad 2018

Szczegółowe informacje o tym leku znajdują się na stronie internetowej Europejskiej Agencji Leków <http://www.ema.europa.eu>. Znajdują się tam również linki do stron internetowych o rzadkich chorobach i sposobach leczenia.

Informacje przeznaczone wyłącznie dla fachowego personelu medycznego:

Instrukcja użycia – odtworzenie, rozcieńczenie i podanie

Lek Myozyme należy rozpuścić w wodzie do wstrzykiwań, a następnie rozcieńczyć roztworem chlorku sodu do wstrzykiwań o stężeniu 9 mg/ml (0,9%). Otrzymany roztwór podaje się w infuzji dożylniej. Rozpuszczanie i rozcieńczanie należy prowadzić w warunkach jałowych, zgodnie z zaleceniami dobrej praktyki.

Ponieważ opisywany produkt jest substancją białkową, w koncentracie i w worku zawierającym gotowy do podania roztwór mogą wytrącać się cząsteczki. Dlatego przed podaniem należy przepuścić roztwór przez filtr 0,2 µm o niskiej zdolności wiążącej białka znajdujący się w linii dożylniej. Wykazano, że filtr 0,2 µm w linii dożylniej usuwa widoczne cząsteczki i nie powoduje widocznej utraty lub zmniejszenia aktywności białek.

Należy wyliczyć liczbę fiolek przeznaczonych do rozpuszczania na podstawie indywidualnego schematu dawkowania (mg/kg) dla danego pacjenta i wyjąć potrzebną liczbę fiolek z lodówki, aby osiągnęły temperaturę pokojową (około 30 minut). Każda fiołka zawierająca lek Myozyme jest przeznaczona wyłącznie do jednorazowego użycia.

Wykonywać w warunkach aseptycznych

• Odtworzenie

Do każdej fiołki zawierającej 50 mg leku Myozyme należy dodać 10,3 ml wody do wstrzykiwań przy użyciu strzykawki z igłą o średnicy nie większej niż 20 G.

Wodę do wstrzykiwań należy dodawać powoli kroplami po ściance fiołki, nie bezpośrednio na liofilizowaną masę. Delikatnie przechylić i obrócić każdą fiołkę. Nie odwracać, nie wirować i nie wstrząsać fiołki. Przygotowany koncentrat o objętości 10,5 ml zawiera 5 mg enzymu w 1 ml i jest przezroczystym, bezbarwnym lub bladożółtym roztworem, który może zawierać cząstki stałe w kształcie cienkich białych nitek lub przezroczystych włókienek. Należy sprawdzić przygotowany koncentrat w każdej fiołce, czy nie zawiera jakichkolwiek cząstek stałych lub czy nie zmienił barwy. Jeżeli podczas bezpośredniej kontroli zauważone zostaną cząstki stałe inne niż opisane powyżej lub zmieni się barwa roztworu, nie należy używać koncentratu. Odczyn pH przygotowanego roztworu wynosi około 6,2.

Po przygotowaniu koncentratu w fiołkach zaleca się jego natychmiastowe rozcieńczenie (patrz poniżej).

- **Rozcieńczenie**

Po rozpuszczeniu zgodnie z powyższym zaleceniem roztwór w fiolce zawiera 5 mg alglukozydazy alfa w 1 ml. Z każdej fiolki należy pobrać dokładnie 10,0 ml (co odpowiada 50 mg alglukozydazy alfa) przygotowanego roztworu. Następnie wykonać dalsze rozcieńczenie według następującego schematu: Z każdej fiolki należy, przy użyciu strzykawki z igłą o średnicy nie większej niż 20 G, powoli pobrać przygotowany roztwór aż do otrzymania objętości zawierającej dawkę dla danego pacjenta. Zalecane stężenie końcowe alglukozydazy w worku do infuzji wynosi od 0,5 mg/ml do 4 mg/ml. Z worków do infuzji należy usunąć powietrze. Następnie należy usunąć równoważną objętość roztworu chlorku sodu do wstrzykiwań 9 mg/ml (0,9%), która zostanie zastąpiona roztworem leku Myozyme. Powoli wstrzyknąć przygotowany koncentrat Myozyme bezpośrednio do roztworu chlorku sodu do wstrzykiwań 9 mg/ml (0,9%). Delikatnie odwrócić lub masować worek, aby wymieszać rozcieńczony roztwór. Nie wstrząsać i nie wykonywać nadmiernych ruchów workiem.

Roztwór do infuzji należy podać natychmiast po przygotowaniu.

Wszelkie resztki niewykorzystanego produktu lub jego odpady należy usunąć w sposób zgodny z lokalnymi przepisami.

- **Podawanie**

Zaleca się, aby rozcieńczony roztwór podać w ciągu 3 godzin. Czas pomiędzy rozpuszczeniem (odtworzeniem) leku a zakończeniem infuzji nie może przekroczyć 24 godzin.

Zalecana dawka leku Myozyme wynosi 20 mg/kg masy ciała. Dawka jest podawana raz na 2 tygodnie w postaci infuzji dożylniej.

Lek należy podawać stopniowo. Zaleca się rozpoczęcie infuzji z szybkością początkową 1 mg/kg mc./h i stopniowe jej zwiększanie o 2 mg/kg mc./h, co 30 minut, aż do osiągnięcia maksymalnej szybkości 7 mg/kg mc./h., o ile nie wystąpią objawy reakcji związane z infuzją.