

Ulotka dołączona do opakowania: informacja dla użytkownika

Myozyme 50 mg proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji Alglukozydaza 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-glukozydazą. 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 **bezwzględnie 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 powiedzieć lekarzowi lub farmaceucie o wszystkich lekach przyjmowanych przez pacjenta obecnie lub ostatnio, a także o lekach, które pacjent planuje przyjmować.

Ciąża, karmienie piersią i wpływ na płodność

Doświadczenie dotyczące stosowania leku Myozyme u kobiet w ciąży jest ograniczone. Nie należy stosować leku Myozyme w okresie ciąży, jeśli nie jest to bezwzględnie konieczne. Należy poinformować lekarza, jeśli pacjentka karmi piersią. Istnieje ograniczone doświadczenie sugerujące, że lek Myozyme przenika do mleka kobiecego w bardzo małych ilościach. Nie przewiduje się wpływu na niemowlę karmione piersią. Dlatego podczas leczenia można rozważyć karmienie piersią. Można jednak omówić z lekarzem czy należy przerwać karmienie piersią jako środek ostrożności przez pierwsze 24 godziny po otrzymaniu każdej dawki leku Myozyme. 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 obsługiwanie maszyn, gdyż możliwe jest odczuwanie zawrotów głowy, senność, drżenie i (lub) niskie ciśnienie krwi.

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.

Infuzja domowa

Lekarz może rozważyć wykonywanie infuzji leku Myozyme w domu, jeśli będzie to bezpieczne i wygodne dla pacjenta. Jeżeli u pacjenta wystąpią jakiegokolwiek działania niepożądane w trakcie infuzji leku Myozyme, osoba podająca infuzję domową może przerwać infuzję i rozpocząć odpowiednie leczenie.

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

W przypadku podania leku Myozyme w większej dawce lub szybszej infuzji niż zalecane, mogą wystąpić reakcje związane z infuzją. Taka reakcja może obejmować objawy takie jak:

- zasinienie skóry i ust z powodu braku tlenu w tkankach, przyspieszenie rytmu serca, kołatanie

- serca
- trudności w oddychaniu, kaszel
- zawroty głowy, ból głowy, zaburzenia smaku
- wysokie ciśnienie krwi, uderzenia gorąca
- obrzęk języka, wymioty, biegunka, nudności
- ból w klatce piersiowej, dyskomfort w klatce piersiowej, ucisk w gardle, gorączka, dreszcze, uczucie zimna, zaczerwienienie w miejscu podania infuzji
- ból mięśni
- zaczerwienienie skóry

Jeśli u pacjenta wystąpi taka reakcja, należy natychmiast poinformować o tym lekarza (patrz punkt 2). Szybkość infuzji zostanie zmniejszona lub infuzja zostanie wstrzymana, a w razie potrzeby pacjent może otrzymać odpowiednie leczenie objawowe.

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 nieznana: częstość nie może być określona na podstawie dostępnych danych

- Obrzęk wokół oczu
- Astma
- Nieprawidłowe szmery oddechowe, w tym świst
- Trudności w oddychaniu (w tym duszność)
- Zimne kończyny (np. dłonie, stopy)
- Obniżone lub niskie ciśnienie tętnicze
- Zwężenie naczyń krwionośnych zmniejszające przepływ krwi
- Nagły skurcz oskrzeli ograniczający przepływ gazów oddechowych (skurcz oskrzeli)
- Uczucie gorąca
- Uczucie zimna
- Ogólne złe samopoczucie
- Uczucie osłabienia
- Senność
- Omdlenie
- Uczucie pieczenia
- Zwiększona potliwość
- Łzawienie
- Marmurkowatość skóry
- Niepokój
- Świszczący oddech
- Podrażnienie gardła
- Niedobór tlenu w tkankach ciała
- Spowolnienie rytmu serca
- Zatrzymanie akcji serca
- Silne bicie serca, które może być szybkie lub nieregularne (kołatanie serca)
- Ból w klatce piersiowej (nie serca)
- Zapalenie błon okrywających gałkę oczną i powiekę
- Ból brzucha
- Niestrawność
- Trudności w połykaniu
- 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

- Zaczerwienienie dłoni
- Przemijające przebarwienia skóry
- Zaczerwienienia w miejscu podania infuzji
- Pokrzywka (wysypka) w miejscu podania infuzji
- Swędzenie w miejscu podania infuzji
- Pęcherzyk

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, 02-222 Warszawa, Tel.: + 48 22 49 21 301, Faks: + 48 22 49 21 309, Strona internetowa: <https://smz.ezdrowie.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 rekonstytucji 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 sporządzania koncentratu 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 rekonstytucji roztwór jest przezroczysty, bezbarwny lub bladożółty i może zawierać cząstki stałe. Roztwór po rekonstytucji należy następnie dalej rozcieńczyć.

Podmiot odpowiedzialny i wytwórca

Podmiot odpowiedzialny

Sanofi B.V., Paasheuvelweg 25, 1105 BP Amsterdam, Holandia

Wytwórca

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

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

Polska

Sanofi Sp. z o.o.

Tel.: +48 22 280 00 00

Data ostatniej aktualizacji ulotki: sierpień 2024

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 – Rekonstytucja, rozcieńczenie i podanie

Lek Myozyme należy rekonstruować 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. Rekonstytucję i rozcieńczanie należy prowadzić w warunkach jałowych, zgodnie z zaleceniami dobrej praktyki.

Ponieważ opisywany produkt jest substancją białkową, w koncentracie po rekonstytucji 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 rekonstytucji 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

• Rekonstytucja

Każdą fiołkę zawierającą 50 mg leku Myozyme należy rekonstruować w 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. Po rekonstytucji 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. Po rekonstytucji należy sprawdzić 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 roztworu po rekonstytucji wynosi około 6,2.

Po rekonstytucji koncentratu w fiolkach zaleca się jego natychmiastowe rozcieńczenie (patrz poniżej).

- **Rozcieńczenie**

Po rekonstytucji zgodnie z powyższym zaleceniem koncentrat 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) koncentratu po rekonstytucji. 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 koncentrat po rekonstytucji 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 koncentratem leku Myozyme po rekonstytucji. Powoli wstrzyknąć koncentrat leku Myozyme po rekonstytucji 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 rekonstytucją 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.