

B. ULOTKA DLA PACJENTA

Ulotka dołączona do opakowania: informacja dla pacjenta

Xenpozyme 4 mg proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji Xenpozyme 20 mg proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji olipudaza alfa

▼ Niniejszy produkt leczniczy będzie dodatkowo monitorowany. Umożliwi to szybkie zidentyfikowanie nowych informacji o bezpieczeństwie. Użytkownik leku też może w tym pomóc, zgłaszając wszelkie działania niepożądane, które wystąpiły po zastosowaniu leku. Aby dowiedzieć się, jak zgłaszać działania niepożądane – patrz punkt 4.

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 lub pielęgniarki.
- Jeśli u pacjenta wystąpią jakiegokolwiek objawy niepożądane, w tym wszelkie objawy niepożądane niewymienione w tej ulotce, należy powiedzieć o tym lekarzowi lub pielęgniarence. Patrz punkt 4.

Spis treści ulotki

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

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

Co to jest lek Xenpozyme

Lek Xenpozyme zawiera enzym zwany olipudazą alfa.

W jakim celu stosuje się lek Xenpozyme

Lek Xenpozyme jest stosowany w leczeniu dziedzicznego zaburzenia zwanego niedoborem kwaśnej sfingomielinazy (ang. *Acid Sphingomyelinase Deficiency*, ASMD). Jest stosowany u dzieci i dorosłych z ASMD typu A/B lub B w leczeniu objawów przedmiotowych i podmiotowych ASMD niezwiązanych z mózgiem.

Jak działa lek Xenpozyme

Pacjenci z ASMD nie posiadają prawidłowo działającego enzymu - kwaśnej sfingomielinazy. Prowadzi to do gromadzenia się substancji zwanej sfingomieliną, która uszkadza narządy, takie jak śledziona, wątroba, serce, płuca i krew. Olipudaza alfa działa jak zamiennik naturalnego enzymu, zmniejsza gromadzenie się sfingomieliny w narządach i leczy objawy przedmiotowe i podmiotowe.

2. Informacje ważne przed zastosowaniem leku Xenpozyme

Kiedy nie stosować leku Xenpozyme

- Jeśli u pacjenta wystąpiła zagrażająca życiu reakcja alergiczna (anafilaksja) na olipudazę alfa (patrz punkt poniżej „Ostrzeżenia i środki ostrożności”) lub którykolwiek z pozostałych składników tego leku (wymienionych w punkcie 6).

Ostrzeżenia i środki ostrożności

U pacjenta mogą wystąpić działania niepożądane zwane reakcjami związanymi z infuzją, które mogą być spowodowane infuzją (wlewem kroplowym) leku. Mogą wystąpić podczas podawania leku Xenpozyme lub w ciągu 24 godzin po infuzji.

Mogą to być reakcje alergiczne (patrz punkt 4) i objawy, takie jak ból głowy, wypukłe, swędzące krosty (pokrzywka), gorączka, nudności, wymioty i swędzenie skóry.

Jeśli pacjent uważa, że wystąpiła u niego reakcja związana z infuzją, **należy natychmiast poinformować o tym lekarza.**

Jeżeli podczas infuzji wystąpi ciężka reakcja alergiczna, lekarz przerwie infuzję i zapewni odpowiednie leczenie. Lekarz oceni ryzyko i korzyści ponownego podania pacjentowi leku Xenpozyme.

Jeśli u pacjenta wystąpi łagodna lub umiarkowana reakcja związana z infuzją, lekarz lub pielęgniarka mogą tymczasowo przerwać infuzję, zmniejszyć szybkość infuzji i (lub) zmniejszyć dawkę.

Lekarz może również podać (lub podał) inne leki w celu zapobiegania lub leczenia reakcji alergicznych.

Lekarz zleci badanie krwi w celu sprawdzenia czynności wątroby (poprzez pomiar aktywności enzymów wątrobowych) przed rozpoczęciem leczenia, a następnie w regularnych odstępach podczas etapu dostosowywania dawek (patrz punkt 3).

Lek Xenpozyme a inne leki

Należy powiedzieć lekarzowi lub pielęgniarce o wszystkich lekach stosowanych przez pacjenta obecnie lub ostatnio, a także o lekach, które pacjent planuje stosować.

Ciąża i karmienie 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 pielęgniarki przed zastosowaniem tego leku.

Istnieje ograniczone doświadczenie w stosowaniu leku Xenpozyme u kobiet w ciąży. Lek Xenpozyme może być szkodliwy dla nienarodzonego dziecka, gdy jest przyjmowany przez kobiety w czasie ciąży. Lek Xenpozyme należy podawać w czasie ciąży tylko wtedy, gdy jest to bezwzględnie konieczne. Kobiety, które mogą zajść w ciążę, powinny stosować skuteczną antykoncepcję podczas leczenia oraz przez 14 dni po przyjęciu ostatniej dawki w przypadku przerwania stosowania leku Xenpozyme.

Nie wiadomo, czy lek Xenpozyme przenika do mleka kobiecego. Lek Xenpozyme wykryto w mleku zwierzęcym. Należy poinformować lekarza, jeśli pacjentka karmi piersią lub planuje to robić. Lekarz pomoże pacjentce zdecydować, czy przerwać karmienie piersią czy przyjmowanie leku Xenpozyme, biorąc pod uwagę korzyści z karmienia piersią dla dziecka i korzyści z przyjmowania leku Xenpozyme dla matki.

Prowadzenie pojazdów i obsługiwanie maszyn

Lek Xenpozyme może wywierać niewielki wpływ na zdolność prowadzenia pojazdów i obsługiwanie maszyn, ponieważ po jego zastosowaniu może wystąpić niskie ciśnienie krwi (co może powodować omdlenie).

Lek Xenpozyme zawiera sód

Lek zawiera 0,60 mg sodu (głównego składnika soli kuchennej) w każdej fiole 4 mg lub 3,02 mg sodu w fiole 20 mg. Odpowiada to odpowiednio 0,03% i 0,15% maksymalnej zalecanej dobowej dawki sodu w diecie u osób dorosłych lub nastolatków i odpowiednio $\leq 0,08\%$ i $\leq 0,38\%$ maksymalnej dopuszczalnej dobowej dawki sodu u dzieci w wieku poniżej 16 lat.

3. Jak stosować lek Xenpozyme

Lek Xenpozyme będzie podawany we wlewie kroplowym (infuzji) pod nadzorem fachowego personelu medycznego, posiadającego doświadczenie w leczeniu ASMD lub innych zaburzeń metabolizmu.

Dawkę, którą otrzyma pacjent ustala się na podstawie masy ciała i podaje się co dwa tygodnie. Leczenie rozpoczyna się od małej dawki leku, która jest stopniowo zwiększana. Infuzja trwa zwykle około 3 do 4 godzin, ale może być krótsza lub dłuższa w zależności od oceny lekarza oraz może być krótsza podczas etapu zwiększania dawki.

Dorośli pacjenci

Zalecana dawka początkowa leku Xenpozyme wynosi 0,1 mg na każdy kg masy ciała. Dawkę zwiększa się w zaplanowany sposób, z każdą kolejną dawką, aż do osiągnięcia zalecanej dawki 3 mg na każdy kg masy ciała co 2 tygodnie. Zwykle osiągnięcie zalecanej dawki zajmuje 14 tygodni, ale może trwać dłużej w zależności od oceny lekarza.

Dzieci

Zalecana dawka początkowa leku Xenpozyme wynosi 0,03 mg na każdy kg masy ciała. Kolejne dawki należy zwiększać w zaplanowany sposób, aż do zalecanej dawki 3 mg na każdy kg masy ciała co 2 tygodnie. Zwykle osiągnięcie zalecanej dawki zajmuje 16 tygodni, ale może trwać dłużej w zależności od oceny lekarza.

Infuzja domowa

Lekarz może rozważyć infuzję domową leku Xenpozyme, jeżeli pacjent przyjmuje stałą dawkę i dobrze toleruje infuzję. Decyzję o przejściu na infuzję domową należy podjąć po ocenie i zaleceniach lekarza. Jeżeli u pacjenta wystąpi działanie niepożądane w trakcie infuzji leku Xenpozyme, osoba podająca infuzję domową może przerwać infuzję i rozpocząć odpowiednie leczenie.

Instrukcje prawidłowego stosowania

Lek Xenpozyme podaje się w infuzji dożylniej (we wlewie kroplowym do żyły). Jest on dostarczany w postaci proszku, który przed podaniem należy wymieszać z jałową wodą.

Zastosowanie większej niż zalecana dawki leku Xenpozyme

Należy natychmiast poinformować lekarza, jeśli pacjent podejrzewa zmianę w stosunku do rutynowej infuzji.

Pominięcie zastosowania leku Xenpozyme

Ważne jest, aby infuzję podawać co 2 tygodnie. Infuzję uważa się za pominiętą, jeżeli nie została podana w ciągu 3 dni od zaplanowanej infuzji. W zależności od liczby pominiętych dawek, lekarz może zdecydować o wznowieniu leczenia zaczynając od niższej dawki.

Jeśli pacjent pominie infuzję lub nie może pojawić się na zaplanowanej wizycie, należy natychmiast skontaktować się z lekarzem.

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

4. Możliwe działania niepożądane

Jak każdy lek, lek ten może powodować działania niepożądane, chociaż nie u każdego one wystąpią. Reakcje związane z infuzją obserwowano u pacjentów podczas podawania leku lub w ciągu 24 godzin po infuzji.

Najcięższymi działaniami niepożądanymi mogą być: nagłe, ciężkie reakcje alergiczne, wypukłe swędzące krosty (pokrzywka), wysypka, zwiększona aktywność enzymów wątrobowych i nieregularne bicie serca.

Należy niezwłocznie poinformować lekarza, jeśli u pacjenta wystąpi reakcja związana z infuzją lub reakcja alergiczna.

Jeżeli u pacjenta wystąpi reakcja związana z infuzją, mogą zostać podane dodatkowe leki w celu leczenia lub zapobiegania przyszłym reakcjom. Jeśli reakcja związana z infuzją jest ciężka, lekarz może przerwać infuzję leku Xenpozyme i rozpocząć odpowiednie leczenie.

Bardzo często (mogą wystąpić częściej niż u 1 na 10 osób)

- Ból głowy
- Wypukła, swędząca wysypka (pokrzywka)
- Gorączka – zwiększenie temperatury ciała
- Nudności
- Ból brzucha
- Wymioty
- Świąd skóry
- Ból mięśni
- Wysypka
- Podwyższone wartości wyników badań krwi oceniających stan zapalny
- Ból w nadbrzuszu
- Zaczerwienienie skóry

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

- Świąd lub zaczerwienienie oczu
- Ból stawów
- Zmęczenie
- Nieprawidłowe wyniki badań krwi oceniających czynność wątroby
- Biegunka
- Niskie ciśnienie krwi
- Trudności w oddychaniu
- Dyskomfort w jamie brzusznej
- Wysypka (różne rodzaje wysypki, czasami swędzące)
- Ból pleców
- Ból
- Dreszcze
- Uczucie gorąca
- Świszczący oddech
- Podrażnienie gardła i strun głosowych
- Ból wątroby
- Zmiany skórne (takie jak twarde, uniesione lub czerwone, płaskie zmiany)
- Ból kości
- Osłabienie
- Ciężkie reakcje alergiczne
- Dyskomfort w oku
- Szybkie bicie serca
- Silne bicie serca, które może być szybkie lub nieregularne
- Uczucie ucisku w gardle i obrzęk
- Ból żołądka
- Szybko pojawiający się obrzęk pod powierzchnią skóry, w takich miejscach jak twarz, gardło, ręce i nogi, który może stanowić zagrożenie życia, jeżeli obrzęk gardła zablokuje drogi oddechowe
- Reakcje związane z miejscem podania leku, w tym ból, swędzenie lub obrzęk
- Nieprawidłowe wyniki badań krwi oceniających stan zapalny

Zgłaszanie działań niepożądanych

Jeśli wystąpią jakiegokolwiek objawy niepożądane, w tym wszelkie objawy niepożądane niewymienione w tej ulotce, należy powiedzieć o tym lekarzowi 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 Xenpozyme

Lek należy przechowywać w miejscu niewidocznym i niedostępnym dla dzieci.

Nie stosować tego leku po upływie terminu ważności zamieszczonego na etykiecie i pudełku. Termin ważności oznacza ostatni dzień podanego miesiąca.

Przechowywać w lodówce w temperaturze od 2°C do 8°C.

Po rozcieńczeniu zaleca się natychmiastowe użycie leku.

Jeśli produkt nie zostanie natychmiast zużyty, zrekonstruowany roztwór może być przechowywany do 24 godzin w temperaturze od 2°C do 8°C.

Po rozcieńczeniu, roztwór może być przechowywany do 24 godzin w temperaturze 2-8°C, a następnie przez 12 godzin (włączając czas trwania infuzji) w temperaturze pokojowej.

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

6. Zawartość opakowania i inne informacje

Co zawiera lek Xenpozyme

- Substancją czynną leku jest olipudaza alfa. Jedna fiolka zawiera 4 mg lub 20 mg olipudazy alfa.
 - Pozostałe składniki to:
 - L-metionina
 - Disodu wodorofosforan siedmiowodny
 - Sodu diwodorofosforan jednowodny
 - Sacharoza
- Patrz punkt 2 „Lek Xenpozyme zawiera sól”.

Jak wygląda lek Xenpozyme i co zawiera opakowanie

Lek Xenpozyme to proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji w fiolce (4 lub 20 mg/fiolka).

Liofilizowany proszek o barwie białej lub białawej.

Po zmieszaniu z jałową wodą tworzy przezroczysty, bezbarwny roztwór. Roztwór wymaga dalszego rozcieńczenia przed infuzją.

Podmiot odpowiedzialny

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

Wytwórca

Genzyme Ireland Limited, 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: maj 2025

Inne źródła informacji

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.

Ta ulotka jest dostępna we wszystkich językach UE/EOG na stronie internetowej Europejskiej Agencji Leków oraz na stronie internetowej: www.xenpozyme.info.sanofi lub po zeskanowaniu poniższego kodu QR za pomocą smartfona (znajdującego się również na opakowaniu zewnętrznym).

<miejsce na kod QR>

<----->

Informacje przeznaczone wyłącznie dla fachowego personelu medycznego:

Przygotowanie roztworu dawki

Proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji należy rekonstruować w jałowej wodzie do wstrzykiwań, rozcieńczyć 9 mg/ml (0,9%) roztworem chlorku sodu do wstrzykiwań, a następnie podawać w infuzji dożylniej.

Rekonstrukcja i rozcieńczenie muszą być przeprowadzone w warunkach aseptycznych. Nie należy używać urządzeń filtrujących na żadnym etapie przygotowania roztworu. Należy unikać spienienia podczas rekonstrukcji i rozcieńczenia.

- 1) Określić liczbę fiolek do rekonstrukcji na podstawie masy ciała pacjenta i przepisanej dawki. Masa ciała (kg) × dawka (mg/kg) = dawka dla pacjenta (w mg). Na przykład, w przypadku stosowania fiolek 20 mg dawka dla pacjenta (w mg) podzielona przez 20 mg/fiolkę = liczba fiolek do rekonstrukcji. Jeśli liczba fiolek wyrażona jest w ułamku, należy zaokrąglić ją w górę do liczby całkowitej.
- 2) Wyjąć potrzebną liczbę fiolek z lodówki i odstawić je na około 20 do 30 minut, aby osiągnęły temperaturę pokojową.
- 3) Rekonstruować każdą fiolkę przez wstrzyknięcie:
1,1 ml jałowej wody do wstrzykiwań do fiolki 4 mg,
5,1 ml jałowej wody do wstrzykiwań do fiolki 20 mg,
stosując technikę powolnego dodawania kropeł na wewnętrzną ściankę fiolki.
- 4) Delikatnie przechylać i obracać każdą fiolkę. W każdej fiolce powstaje przezroczysty, bezbarwny roztwór o stężeniu 4 mg/ml.
- 5) Wizualnie sprawdzić czy zrekonstruowany roztwór w fiolkach nie zawiera jakichkolwiek cząstek stałych i przebarwień. Roztwór produktu leczniczego Xenpozyme powinien być przezroczysty i bezbarwny. Nie należy używać fiolek w przypadku zaobserwowania cząstek stałych lub przebarwień.
- 6) Pobrać objętość zrekonstruowanego roztworu zgodnie z przepisaną dawką z odpowiedniej liczby fiolek i rozcieńczyć 9 mg/ml (0,9%) roztworem chlorku sodu do wstrzykiwań w strzykawkę lub worku infuzyjnym, w zależności od objętości infuzji (zalecana całkowita objętość infuzji na podstawie wieku i (lub) masy ciała pacjenta, patrz tabela 1).

Tabela 1: Zalecane objętości infuzji

	Masa ciała ≥ 3 kg do < 10 kg	Masa ciała ≥ 10 kg do < 20 kg	Masa ciała ≥ 20 kg (dzieci i młodzież < 18 lat)	Dorośli (≥ 18 lat)
Dawka (mg/kg)	Całkowita objętość infuzji (ml)	Całkowita objętość infuzji (ml)	Całkowita objętość infuzji (ml)	Całkowita objętość infuzji (ml)
0,03	Objętość będzie się różnić w zależności od masy ciała	Objętość będzie się różnić w zależności od masy ciała	5	NA
0,1	Objętość będzie się różnić w zależności od masy ciała	5	10	20
0,3	5	10	20	100
0,6	10	20	50	100
1	20	50	100	100
2	50	75	200	100
3	50	100	250	100

- Dla zmiennej końcowej objętości infuzji w zależności od masy ciała u dzieci i młodzieży (patrz tabela 1):
 - Przygotować roztwór do infuzji o stężeniu 0,1 mg/ml przez dodanie 0,25 ml (1 mg) rekonstruowanego roztworu przygotowanego w kroku 3) do 9,75 ml 9 mg/ml (0,9%) roztworu chlorku sodu do wstrzykiwań w pustej 10 ml strzykawce.
 - Obliczyć objętość (ml) potrzebną do uzyskania dawki dla pacjenta (mg).
Przykład: $0,3 \text{ mg} \div 0,1 \text{ mg/ml} = 3 \text{ ml}$.
 - Instrukcja dotycząca rozcieńczenia do całkowitej objętości: $5 \text{ ml} \leq \text{całkowita objętość} \leq 20 \text{ ml}$ za pomocą strzykawki:
 - Wstrzyknąć potrzebną objętość rekonstruowanego roztworu powoli na wewnętrzną ściankę pustej strzykawki.
 - Dodać powoli odpowiednią ilość 9 mg/ml (0,9%) roztworu chlorku sodu do wstrzykiwań, aby uzyskać potrzebną całkowitą objętość infuzji (uniknąć spienienia w strzykawce).
 - Instrukcja dotycząca rozcieńczenia do całkowitej objętości $\geq 50 \text{ ml}$ za pomocą worka infuzyjnego:
 - Pusty worek infuzyjny:
 - Wstrzyknąć powoli potrzebną objętość rekonstruowanego roztworu z kroku 3) do sterylnej worka infuzyjnego o odpowiedniej wielkości.
 - Dodać powoli odpowiednią ilość 9 mg/ml (0,9%) roztworu chlorku sodu do wstrzykiwań, aby otrzymać potrzebną całkowitą objętość infuzji (uniknąć spienienia w worku).
 - Naplnięty worek infuzyjny:
 - Pobrać z worka infuzyjnego naplniętego 9 mg/ml (0,9%) roztworem chlorku sodu do wstrzykiwań taką objętość soli fizjologicznej, aby otrzymać końcową objętość, jak określono w Tabeli 1.
 - Dodać powoli potrzebną objętość rekonstruowanego roztworu z kroku 3) do worka infuzyjnego (uniknąć spienienia w worku).
- 7) Ostrożnie odwrócić strzykawkę lub worek infuzyjny, aby wymieszać roztwór. Nie wstrząsać. Po rozcieńczeniu sporadycznie może pojawić się niewielka flokulacja (opisywana jako cienkie, półprzezroczyste włókna), gdyż jest to roztwór białka.
- 8) Podczas podawania rozcieńczony roztwór musi być przefiltrowany przez wbudowany filtr o średnicy porów $0,2 \mu\text{m}$, o małej zdolności wiązania białek.
- 9) Po zakończonej infuzji zestaw infuzyjny należy przepłukać 9 mg/ml (0,9%) roztworem chlorku sodu do wstrzykiwań z taką samą szybkością, z jaką przeprowadzono ostatnią część infuzji.