

**МІОЗИМ (алглюкозидаза альфа), порошок для приготування концентрату
для розчину для інфузій**

Інфузійна терапія в домашніх умовах

**Посібник для
пацієнта/доглядальника з
проведення інфузії лікарського
засобу МІОЗИМ в домашніх
умовах, включно із
щоденником для інфузій**

ВЕРСІЯ № 1.0, липень 2025 р.

Посібник для пацієнта/доглядальника містить такі елементи:

- *інформація про ризик розвитку інфузійних реакцій, зокрема реакцій гіперчутливості та анафілактичних реакцій, включно з їхніми ознаками та симптомами, а також рекомендовані дії при появі симптомів;*
- *додаток із щоденником пацієнта/доглядальника для спостереження за інфузіями.*

Про цей документ

Уважно прочитайте всю цю інформацію.

Зберігайте цю інформацію у зручному та доступному місці для подальшого використання; вам може знадобитися знову її прочитати.

- Якщо у вас виникнуть додаткові запитання, зверніться до свого лікуючого лікаря та спеціаліста системи охорони здоров'я, який проводить інфузію.
- Цей лікарський засіб було призначено вам або вашому підопічному. Не передавайте його іншим, навіть якщо їхні симптоми такі ж, як у пацієнта, оскільки це може завдати їм шкоди.
- Якщо у вас виникли будь-які побічні реакції, ви та/або ваш доглядальник маєте повідомити лікуючого лікаря або спеціаліста системи охорони здоров'я, який проводить інфузійну терапію.

Зміст

- 1. Хвороба Помпе та її лікування**
- 2. Проведення інфузій в домашніх умовах**
- 3. Лікування побічних реакцій**
- 4. Використання «Щоденника інфузій»**

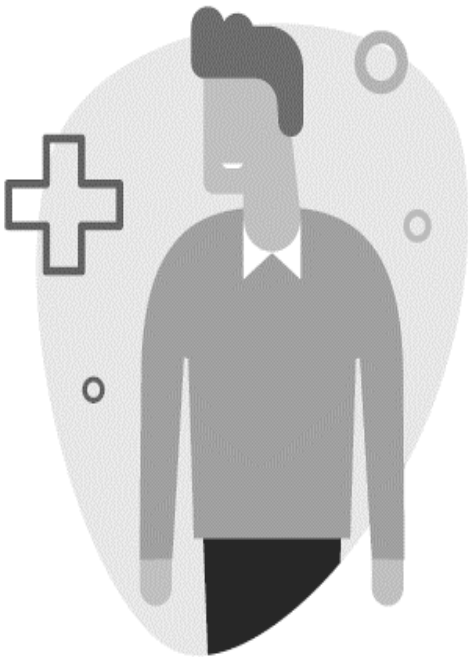
СКОРОЧЕННЯ

КАГ:	кисла альфа-глюкозидаза
ССОЗ:	спеціаліст системи охорони здоров'я (лікар, медсестра, інші)
ІР:	інфузійні реакції

Процеси, наведені в цьому документі, є загальними рекомендаціями, але мають регулюватися вимогами національного законодавства та медичної практики.

1. Хвороба Помпе та її лікування

Разом із вашим лікуючим лікарем ви вирішили почати інфузійну терапію лікарським засобом МІОЗИМ. Метою цього документа є надання вам рекомендацій щодо введення лікарського засобу МІОЗИМ в домашніх умовах. Процеси, наведені в цьому документі, являють собою загальні рекомендації, але регулюються вимогами національного законодавства та медичної практики. Ваш лікуючий лікар надасть вам інформацію, яка стосується вашої ситуації.



Хвороба Помпе —це рідкісне захворювання, перші симптоми якого можуть виникнути в будь-якому віці від народження до пізньої зрілості. Загальним симптомом у будь-якому віці є слабкість скелетних м'язів, що призводить до обмежень рухливості, а також до порушення дихання.

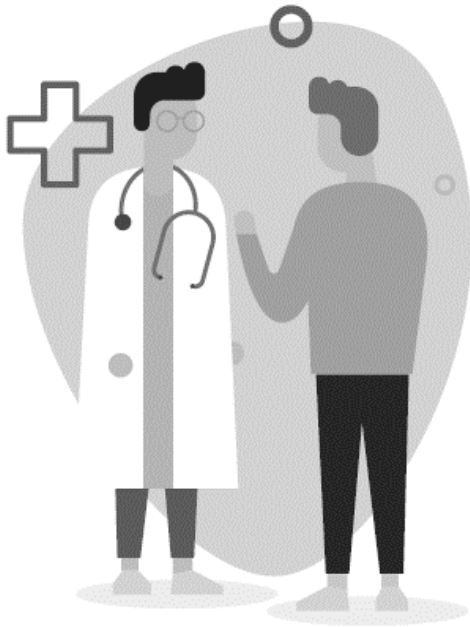
У пацієнтів із хворобою Помпе спостерігається низький рівень або відсутність ферменту під назвою «кисла альфа-глюкозидаза» (КАГ). Цей фермент зазвичай відповідає за розщеплення цукристої сполуки під назвою «глікоген», яка складається з багатьох одиниць «глюкози», і в результаті в різних органах, але насамперед у м'язах, накопичуються аномальні відкладення глікогену, які пошкоджують тканини та знижують їхню функціональність.

МІОЗИМ — це штучно отриманий фермент під назвою алглюкозидаза альфа, призначений для заміни природного ферменту КАГ, який відсутній або недостатньо активний у пацієнтів із хворобою Помпе. МІОЗИМ застосовують для тривалого лікування пацієнтів із підтвердженим діагнозом хвороби Помпе.

Додаткову інформацію дивіться в інструкції для медичного застосування лікарського засобу МІОЗИМ за посиланням: <http://www.drlz.com.ua/>.

2. Проведення інфузій в домашніх умовах

Наразі в деяких країнах пацієнти із хворобою Помпе, для лікування яких застосовують лікарський засіб МІОЗИМ, проводять інфузії в домашніх умовах. **Рішення щодо проведення інфузій в домашніх умовах має бути прийняте лікуючим лікарем і пацієнтом/доглядальником після проведення перших інфузій у лікарні, щоб переконатися в тому, що пацієнт добре переносить інфузії.**



Інфузійна терапія лікарським засобом МІОЗИМ в домашніх умовах дозволяє пацієнту отримувати лікування в умовах проживання, що підвищує комфорт і гнучкість графіка інфузій. Це також позбавляє пацієнта від необхідності відвідувати лікарню раз на два тижні, а також забезпечує можливість дотримання звичайної шкільної програми та/або організації соціальних та професійних заходів. Інфузія в домашніх умовах також полегшує організацію лікування в колі сім'ї та друзів.

Відповідальність за проведення інфузій в домашніх умовах несе лікуючий лікар. Ваш лікар надав вам цей посібник для пацієнта/доглядальника, оскільки він вважає, що ви або пацієнт, який перебуває під вашою опікою, може отримувати МІОЗИМ вдома, і ви також віддаєте перевагу цьому варіанту. **Відповідальність лікуючого лікаря полягає в організації безпечного введення лікарського засобу пацієнтові.** Лікуючий лікар має це перевірити та задокументувати. Пацієнт і його сім'я повинні дати згоду на перехід на інфузійну терапію в домашніх умовах, а домашнє приміщення має бути придатним для проведення інфузій.

ССОЗ, який пройшов відповідне навчання, проведе інфузію у вас вдома.

3. Лікування побічних реакцій

Як і всі лікарські засоби, МІОЗИМ може викликати побічні реакції, хоча далеко не в усіх пацієнтів.

Побічні реакції спостерігалися переважно під час введення лікарського засобу або незабаром після нього («інфузійні реакції»).

Деякі з цих побічних реакцій, пов'язаних з інфузією, були серйозними або небезпечними для життя. У деяких пацієнтів були зареєстровані небезпечні для життя реакції, включно з дуже тяжкими генералізованими алергічними реакціями та анафілактичним шоком. Симптоми таких реакцій включають низький артеріальний тиск, дуже швидке серцебиття, утруднене дихання, блювання, набряк обличчя, губ або язика, кропив'янку або висип.



У деяких пацієнтів спостерігалися інфузійні реакції, у вигляді грипоподібних симптомів, які зберігалися протягом кількох днів після завершення інфузії. Майте на увазі, що у деяких пацієнтів побічні реакції спостерігалися через кілька годин після закінчення інфузії.

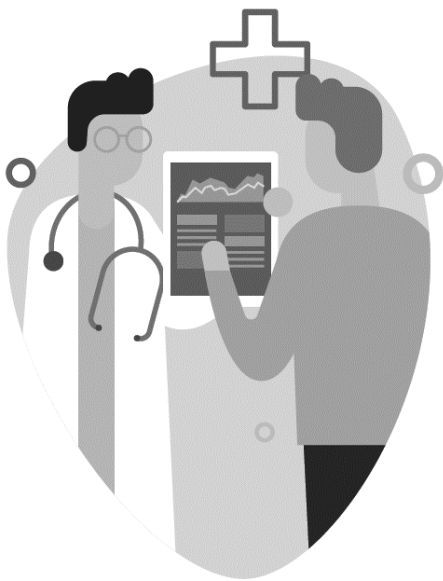
Якщо у вас виникне подібна реакція, негайно повідомте свого лікаря.

Ваш лікар прийме рішення щодо продовження лікування або щодо необхідності прийому лікарських засобів перед початком проведення інфузії, щоб запобігти деяким із цих побічних реакцій (наприклад, антигістамінні засоби, кортикостероїди та/або жарознижувальні засоби). У деяких випадках ваш лікар може

вирішити тимчасово або назавжди перевести проведення інфузійної терапії до лікарні, щоб це було безпечно для вас.

Цілком можливо, що ваш лікуючий лікар може вирішити призначити вам інші лікарські засоби для запобігання реакцій легкого та середнього ступеня тяжкості.

Якщо під час інфузії у вас виникне побічна реакція тяжкого ступеня, ССОЗ повністю припинить інфузію та дотримуватиметься рекомендацій, попередньо встановлених вашим лікуючим лікарем.



У разі побічної реакції легкого або середнього ступеня тяжкості ССОЗ, що проводить інфузію, тимчасово припинить інфузію та відновить її з нижчою швидкістю в залежності від збереження або зникнення симптомів. ССОЗ може розглянути можливість призначення додаткових ліків. Якщо симптоми не зникнуть, ССОЗ може прийняти рішення про повне припинення інфузії на цей день.

Дуже часті побічні реакції (можуть спостерігатися більш ніж у 1 з 10 осіб)

включають кропив'янку, висип, прискорене серцебиття, почервоніння (обличчя), озноб або підвищення температури тіла, кашель, прискорене дихання, блювання та низький рівень кисню в крові.

Повний список всіх побічних реакцій, зареєстрованих при застосуванні лікарського засобу МІОЗИМ, див. у інструкції для медичного застосування лікарського засобу.

Якщо ви погано почуваєтеся через введення лікарського засобу МІОЗИМ під час інфузії в домашніх умовах, ССОЗ негайно припинить введення. Залежно від тяжкості побічної реакції можна негайно зв'язатися з лікуючим лікарем визначеним ним фахівцем та/або зателефонувати за номером служби невідкладної допомоги. Надалі таким пацієнтам може знадобитися проведення інфузій в умовах стаціонару.

Також необхідно зателефонувати лікуючому лікареві та/або за номером служби невідкладної допомоги, якщо ІР відбувається незабаром після завершення інфузії. Інформацію про будь-яку ІР необхідно записати в «Щоденник інфузій», який міститься в кінці цього посібника.

Відповідно до вимог Порядку здійснення фармаконагляду, затвердженого наказом Міністерства охорони здоров'я України від 27 грудня 2006 року № 898, зареєстрованого в Міністерстві юстиції України 29 січня 2007 року за № 73/13340, слід повідомляти про усі підозрювані побічні реакції до Державного експертного центру МОЗ України за посиланням: <https://aisf.dec.gov.ua>.

Також інформацію щодо підозрюваних побічних реакцій ви можете надавати у відділ фармаконагляду за електронною адресою: Pharmacovigilance-UA@sanofi.com. Повідомляючи про будь-які підозрювані побічні реакції, надавайте за можливості якомога більше інформації, такої як назва лікарського засобу та номер серії, інформацію про пацієнта та репортера, супутні захворювання та супутні лікарські засоби тощо. У разі виникнення будь-яких питань або потреби у додатковій інформації про лікарські засоби, будь ласка, звертайтеся у службу з питань забезпечення медичною інформацією ТОВ «Санофі-Авентіс Україна», Україна: тел: +380 44 354 20 00, e-mail: Medinfo.Ukraine@sanofi.com.

4. Використання «Щоденника інфузій»

«Щоденник інфузій» включено як **додаток** до цього посібника для пацієнтів.

Щоденник інфузій — це місце, де ви можете записувати інформацію про всі ваші інфузії та будь-які побічні реакції під час або після інфузії.

Додаток

«Щоденник інфузій»

Щоденник інфузій

Щоденник інфузій для запису інфузій лікарського засобу МІОЗИМ Загальні дані, які має заповнити лікуючий лікар.	
Пацієнт:	ПІБ:
	Адреса:
	Телефон:
	Поштовий індекс / місто:
Доглядальник пацієнта:	ПІБ:
	Адреса:
	Телефон:
	Поштовий індекс / місто:
ССОЗ, що проводить інфузійну терапію	ПІБ:
	Установа:
	Телефон:
	Поштовий індекс / місто:
Лікуючий лікар (ССОЗ, який призначає МІОЗИМ)	ПІБ:
	Установа:
	Телефон:
	Поштовий індекс / місто:
	Номер служби невідкладної допомоги:

Щоденник інфузій

Дата проведення інфузії:	
ПІБ ССОЗ, що проводить інфузійну терапію	
Чи є реакції на інфузію?	
Під час інфузії?	☐ Так ☐ Ні
Після інфузії?	☐ Так ☐ Ні
Коментарі:	
Дата проведення інфузії:	
ПІБ ССОЗ, що проводить інфузійну терапію	
Чи є реакції на інфузію?	
Під час інфузії?	☐ Так ☐ Ні
Після інфузії?	☐ Так ☐ Ні
Коментарі:	
Дата проведення інфузії:	
ПІБ ССОЗ, що проводить інфузійну терапію	
Чи є реакції на інфузію?	
Під час інфузії?	☐ Так ☐ Ні
Після інфузії?	☐ Так ☐ Ні
Коментарі:	

Щоденник інфузій

Дата проведення інфузії:	
ПІБ ССОЗ, що проводить інфузійну терапію	
Чи є реакції на інфузію?	
Під час інфузії?	☐ Так ☐ Ні
Після інфузії?	☐ Так ☐ Ні
Коментарі:	
Дата проведення інфузії:	
ПІБ ССОЗ, що проводить інфузійну терапію	
Чи є реакції на інфузію?	
Під час інфузії?	☐ Так ☐ Ні
Після інфузії?	☐ Так ☐ Ні
Коментарі:	
Дата проведення інфузії:	
ПІБ ССОЗ, що проводить інфузійну терапію	
Чи є реакції на інфузію?	
Під час інфузії?	☐ Так ☐ Ні
Після інфузії?	☐ Так ☐ Ні
Коментарі:	

Щоденник інфузій

Дата проведення інфузії:	
ПІБ ССОЗ, що проводить інфузійну терапію	
Чи є реакції на інфузію?	
Під час інфузії?	__Так __Ні
Після інфузії?	__Так __Ні
Коментарі:	
Дата проведення інфузії:	
ПІБ ССОЗ, що проводить інфузійну терапію	
Чи є реакції на інфузію?	
Під час інфузії?	__Так __Ні
Після інфузії?	__Так __Ні
Коментарі:	
Дата проведення інфузії:	
ПІБ ССОЗ, що проводить інфузійну терапію	
Чи є реакції на інфузію?	
Під час інфузії?	__Так __Ні
Після інфузії?	__Так __Ні
Коментарі:	

Щоденник інфузій

Дата проведення інфузії:	
ПІБ ССОЗ, що проводить інфузійну терапію	
Чи є реакції на інфузію?	
Під час інфузії?	☐ Так ☐ Ні
Після інфузії?	☐ Так ☐ Ні
Коментарі:	
Дата проведення інфузії:	
ПІБ ССОЗ, що проводить інфузійну терапію	
Чи є реакції на інфузію?	
Під час інфузії?	☐ Так ☐ Ні
Після інфузії?	☐ Так ☐ Ні
Коментарі:	
Дата проведення інфузії:	
ПІБ ССОЗ, що проводить інфузійну терапію	
Чи є реакції на інфузію?	
Під час інфузії?	☐ Так ☐ Ні
Після інфузії?	☐ Так ☐ Ні
Коментарі:	

Щоденник інфузій

Дата проведення інфузії:	
ПІБ ССОЗ, що проводить інфузійну терапію	
Чи є реакції на інфузію?	
Під час інфузії?	☐ Так ☐ Ні
Після інфузії?	☐ Так ☐ Ні
Коментарі:	
Дата проведення інфузії:	
ПІБ ССОЗ, що проводить інфузійну терапію	
Чи є реакції на інфузію?	
Під час інфузії?	☐ Так ☐ Ні
Після інфузії?	☐ Так ☐ Ні
Коментарі:	
Дата проведення інфузії:	
ПІБ ССОЗ, що проводить інфузійну терапію	
Чи є реакції на інфузію?	
Під час інфузії?	☐ Так ☐ Ні
Після інфузії?	☐ Так ☐ Ні
Коментарі:	

Щоденник інфузій

Дата проведення інфузії:	
ПІБ ССОЗ, що проводить інфузійну терапію	
Чи є реакції на інфузію?	
Під час інфузії?	☐ Так ☐ Ні
Після інфузії?	☐ Так ☐ Ні
Коментарі:	
Дата проведення інфузії:	
ПІБ ССОЗ, що проводить інфузійну терапію	
Чи є реакції на інфузію?	
Під час інфузії?	☐ Так ☐ Ні
Після інфузії?	☐ Так ☐ Ні
Коментарі:	
Дата проведення інфузії:	
ПІБ ССОЗ, що проводить інфузійну терапію	
Чи є реакції на інфузію?	
Під час інфузії?	☐ Так ☐ Ні
Після інфузії?	☐ Так ☐ Ні
Коментарі:	

Щоденник інфузій

Дата проведення інфузії:	
ПІБ ССОЗ, що проводить інфузійну терапію	
Чи є реакції на інфузію?	
Під час інфузії?	__Так __Ні
Після інфузії?	__Так __Ні
Коментарі:	
Дата проведення інфузії:	
ПІБ ССОЗ, що проводить інфузійну терапію	
Чи є реакції на інфузію?	
Під час інфузії?	__Так __Ні
Після інфузії?	__Так __Ні
Коментарі:	
Дата проведення інфузії:	
ПІБ ССОЗ, що проводить інфузійну терапію	
Чи є реакції на інфузію?	
Під час інфузії?	__Так __Ні
Після інфузії?	__Так __Ні
Коментарі:	

Щоденник інфузій

Дата проведення інфузії:	
ПІБ ССОЗ, що проводить інфузійну терапію	
Чи є реакції на інфузію?	
Під час інфузії?	__Так __Ні
Після інфузії?	__Так __Ні
Коментарі:	
Дата проведення інфузії:	
Ім'я та прізвище спеціаліста системи охорони здоров'я, який проводить інфузії	
Чи є реакції на інфузію?	
Під час інфузії?	__Так __Ні
Після інфузії?	__Так __Ні
Коментарі:	
Дата проведення інфузії:	
ПІБ ССОЗ, що проводить інфузійну терапію	
Чи є реакції на інфузію?	
Під час інфузії?	__Так __Ні
Після інфузії?	__Так __Ні
Коментарі:	