

Bipacksedel: Information till användaren

Myozyme

50 mg pulver till koncentrat till infusionsvätska, lösning
alglukosidas alfa

Läs noga igenom denna bipacksedel innan du börjar använda detta läkemedel. Den innehåller information som är viktig för dig.

- Spara denna bipacksedel, du kan behöva läsa den igen.
- Om du har ytterligare frågor vänd dig till läkare, apotekspersonal eller sjuksköterska.
- Om du får biverkningar, tala med läkare, apotekspersonal eller sjuksköterska. Detta gäller även eventuella biverkningar som inte nämns i denna information. Se avsnitt 4.

I denna bipacksedel finner du information om:

1. Vad Myozyme är och vad det används för
2. Vad du behöver veta innan du får Myozyme
3. Hur Myozyme ges
4. Eventuella biverkningar
5. Hur Myozyme ska förvaras
6. Förpackningens innehåll och övriga upplysningar

1. Vad Myozyme är och vad det används för

Myozyme används för behandling av vuxna, barn och tonåringar i alla åldrar där diagnos på Pompes sjukdom är fastställd.

Personer med Pompes sjukdom har låga nivåer av ett enzym som kallas alfa-glukosidas. Detta enzym hjälper till att kontrollera glykogennivåer (en typ av kolhydrat) i kroppen. Glykogenet förser kroppen med energi, men om du lider av Pompes sjukdom kan glykogennivåerna bli för höga.

Myozyme innehåller ett konstgjort enzym som kallas alglukosidas alfa som kan ersätta det humana enzymet som saknas vid Pompes sjukdom.

2. Vad du behöver veta innan du får Myozyme

Använd inte Myozyme

Om du har upplevt livshotande allergiska (överkänslighets-) reaktioner mot alglukosidas alfa eller något annat innehållsämne i detta läkemedel (anges i avsnitt 6) och om återadministrering av läkemedlet inte lyckades. Symtom på livshotande allergiska reaktioner inkluderar (men är inte begränsade till) lågt blodtryck, mycket snabb hjärtfrekvens, andningssvårigheter, kräkningar, svullnad i ansiktet, nässelfeber eller utslag.

Varningar och försiktighet

Om du behandlas med Myozyme kan du få en infusionsrelaterad biverkning när du får medicinen eller under de närmaste timmarna efter infusionen. En sådan biverkning kan bestå av olika symtom som lågt blodtryck, obehag i bröstet, svullnad i halsen, svullnad av ansikte, läppar eller tunga (angioödem), nässelutslag (urtikaria), yrsel, hudutslag, kliande hud, illamående, kräkningar, hosta och

bronkospasm (se avsnitt 4 för en översikt över alla infusionsrelaterade biverkningar). En sådan infusionsrelaterad biverkning kan i vissa fall vara väldigt allvarlig. Om du upplever en liknande biverkning bör du **genast kontakta läkare**. Du kan vara i behov av medicinering före behandling för att förhindra en allergisk reaktion (t.ex. antihistaminer och/eller kortikosteroider) eller febernedsättande läkemedel.

För att minska produktionen av antikroppar har läkare i studier använt läkemedel som hämmar immunförsvaret. Eftersom du har Pompes sjukdom finns det en risk att du får en allvarlig infektion i andningsvägarna eller lungorna. Genom att använda läkemedel som hämmar immunförsvaret kan risken öka ytterligare.

Om du upplever allvarliga sårskador på huden ska du kontakta läkare. Om dina ben svullnar eller om du känner dig allmänt svullen ska du kontakta läkare. Läkaren bör överväga att avbryta Myozyme-behandlingen och påbörja lämplig medicinsk behandling. Läkaren skall överväga risker och fördelar med att återinsätta Myozyme.

Andra läkemedel och Myozyme

Tala om för läkare eller apotekspersonal om du använder, nyligen har använt eller kan tänkas använda andra läkemedel.

Graviditet, amning och fertilitet

Det finns begränsad erfarenhet från användningen av Myozyme hos gravida kvinnor. Du bör inte använda Myozyme under graviditet om det inte är absolut nödvändigt. Tala om för din läkare om du ammar. Begränsad erfarenhet tyder på att Myozyme utsöndras i bröstmjolk i mycket små mängder. Inga effekter på det ammade spädbarnet förväntas. Därför kan amning under behandlingen övervägas. Du kan ändå diskutera med din läkare om

du bör avbryta amningen som en försiktighetsåtgärd under de första 24 timmarna efter varje dos av Myozyme. Om du är gravid eller ammar, tror att du kan vara gravid eller planerar att skaffa barn, rådfråga läkare eller apotekspersonal innan du använder detta läkemedel.

Körförmåga och användning av maskiner

Var försiktig när du kör bil eller använder maskiner strax efter infusion med Myozyme. Du kan uppleva yrsel, sömnhet, darrningar och/eller lågt blodtryck.

Myozyme innehåller natrium

Detta läkemedel innehåller mindre än 1 mmol natrium (23 mg) per injektionsflaska och är därmed så gott som "natriumfritt".

3. Hur Myozyme ges

Du kommer att få Myozyme av en läkare med erfarenhet av att behandla patienter med Pompes sjukdom.

Du får en dos som är baserad på din kroppsvikt. Rekommenderad dosering för Myozyme är 20 mg/kg kroppsvikt varannan vecka.

Infusion i hemmet

Läkaren kan överväga att låta dig övergå till infusion med Myozyme i hemmet, om det är säkert och bekvämt för dig. Om du får biverkningar under en infusion med Myozyme, kan vårdpersonalen som ger infusionen i hemmet avbryta infusionen och påbörja lämplig medicinsk behandling.

Användning för barn och ungdomar

Den rekommenderade dosen för barn och ungdomar är samma som för vuxna.

Anvisningar för korrekt användning

Myozyme ges med dropp i en ven (som intravenös infusion). Det tillhandahålls i pulverform och måste blandas med sterilt vatten innan användning.

Om du har fått för stor mängd av Myozyme

Om du får Myozyme med en högre dos eller infusionshastighet än den rekommenderade, kan du uppleva infusionsrelaterade reaktioner. En sådan reaktion kan inkludera symtom som:

- blå hud och blåa läppar på grund av syrebrist i kroppsvävnader, ökad puls, palpitationer
- andningssvårigheter, hosta
- yrsel, huvudvärk, smakstörningar
- högt blodtryck, rodnad
- svullnad av tunga, kräkningar, diarré, illamående
- bröstsmärta, obehag i bröstet, trånghet i halsen, feber, frossa, köldkänsla, rodnad vid infusionsstället
- muskelsmärta
- hudrodnad

Tala omedelbart om för din läkare om du får någon av de ovan nämnda reaktionerna (se avsnitt 2). Då minskas infusionshastigheten eller så avbryts infusionen och du kan vid behov få korrigerande behandling.

Om du har glömt att använda Myozyme

Om du har missat en infusion, kontakta din läkare.

Om du har ytterligare frågor om detta läkemedel kontakta läkare, apotekspersonal eller sjuksköterska.

4. Eventuella biverkningar

Liksom alla läkemedel kan detta läkemedel orsaka biverkningar, men alla användare behöver inte få dem.

Biverkningar rapporterades huvudsakligen när patienterna var under behandling eller en kort tid därefter (infusionsrelaterade biverkningar). Några av dessa biverkningar var allvarliga eller livshotande. Livshotande biverkningar, inklusive mycket allvarliga allmänna allergiska reaktioner och anafylaktisk chock, har rapporterats hos vissa patienter. Symtom på sådana reaktioner inkluderar lågt blodtryck, mycket snabb hjärtfrekvens, andningssvårigheter, kräkning, svullnad av ansikte, läppar eller tunga, nässelfeber eller utslag. Några patienter har fått biverkningar med influensaliknande symtom i samband med infusionen. Symtomen kvarstod några få dagar efter att infusionen avslutats. Om du får en liknande biverkning bör du **genast kontakta läkare**. Du kan vara i behov av medicinering före behandlingen för att förhindra en allergisk reaktion (t.ex. antihistaminer och/eller kortikosteroider) eller febernedsättande läkemedel.

Mycket vanliga: kan förekomma hos fler än 1 av 10 personer

- nässelfeber
- utslag
- ökad puls
- ansiktsrodnad
- feber eller förhöjd kroppstemperatur
- hosta
- snabbare andning
- kräkningar
- låg syrenivå i blodet

Vanliga: kan förekomma hos upp till 1 av 10 personer

- blekhet
- förhöjt eller högt blodtryck
- blåaktig missfärgning av huden
- frossa
- upprördhet
- darrningar
- huvudvärk
- stickningar
- smärta eller lokala reaktioner på infusionsstället
- yrsel
- irritabilitet
- klåda
- kväljningar
- svullet ansikte, svullet svalg eller kraftig, kombinerad svullnad av ansikte, svalg eller tunga på grund av en allvarlig allergisk reaktion
- svullnad i armar och ben
- illamående
- obehag i bröstet
- trånghet i halsen
- diarré
- trötthet
- muskelsmärta
- muskelspasmer
- allvarliga sårskador på huden
- hudrodnad

Ingen känd frekvens: kan inte beräknas från tillgängliga data.

- svullnad runt ögonen

- onormala andningsljud, inklusive ett visslande ljud
- andningssvårigheter (inklusive andfåddhet)
- kyla i extremiteter (t.ex. händer, fötter)
- sänkt eller lågt blodtryck
- förträngda blodkärl som gör att blodflödet minskar
- plötslig sammandragning av bronkerna vilket begränsar den mängd luft som passerar in i och ut ur lungorna (bronkspasm)
- värmekänsla
- köldkänsla
- allmän sjukdomskänsla
- svaghetskänsla
- sömnighet
- svettningar
- ökat tårflöde
- fläckig hud
- rastlöshet
- pipande andningsljud
- irritation i halsen
- syrebrist i vävnad
- sänkt puls
- hjärtstopp
- kraftiga hjärtslag som kan vara snabba eller oregelbundna (palpitationer)
- bröstsmärta (inte i hjärtat)
- inflammation i hinnorna som täcker ögonglob och ögonlock
- buksmärta
- matsmältningsbesvär
- sväljsvårigheter
- ledsmärta
- tillfälligt andningsuppehåll eller plötsligt andningsstillestånd
- proteinförlust i urinen

- nefrotiskt syndrom: svullnad i benen, allmän svullnad och proteinförlust i urinen
- svullnad och förtjockning av huden vid infusionsstället vid läckage av produkten utanför blodkärlen
- röda handflator
- övergående hudmissfärgning
- rodnad vid infusionsstället
- nässelutslag (hudutslag) vid infusionsstället
- klåda vid infusionsstället
- blåsa

Rapportering av biverkningar

Om du får biverkningar, tala med läkare, apotekspersonal eller sjuksköterska. Detta gäller även eventuella biverkningar som inte nämns i denna information. Du kan också rapportera biverkningar direkt till Läkemedelsverket, www.lakemedelsverket.se. Genom att rapportera biverkningar kan du bidra till att öka informationen om läkemedels säkerhet. Postadress

Läkemedelsverket

Box 26

751 03 Uppsala

5. Hur Myozyme ska förvaras

Förvara detta läkemedel utom syn- och räckhåll för barn.

Används före utgångsdatum som anges på etiketten efter "EXP". Utgångsdatumet är den sista dagen i angiven månad.

Förvaras i kylskåp (2 °C - 8 °C).

Efter spädning bör produkten användas omedelbart. Kemisk och fysikalisk stabilitet under användning har emellertid visat hållbarhet upp till 24 timmar vid 2 till 8 °C samt vid förvaring i skydd mot ljus.

Läkemedel ska inte kastas i avloppet eller bland hushållsavfall. Fråga apotekspersonalen hur man kastar läkemedel som inte längre används. Dessa åtgärder är till för att skydda miljön.

6. Förpackningens innehåll och övriga upplysningar

Innehållsdeklaration

- Den aktiva substansen är alglukosidas alfa. En injektionsflaska innehåller 50 mg alglukosidas alfa. Efter rekonstituering innehåller lösningen 5 mg alglukosidas alfa/ml och efter spädning varierar koncentrationen mellan 0,5 mg och 4 mg per ml.
- Övriga innehållsämnen är
 - Mannitol (E421)
 - Natriumvätefosfatmonohydrat (E339)
 - Natriumdivätefosfatheptahydrat (E339)
 - Polysorbat 80 (E433).

Läkemedlets utseende och förpackningsstorlekar

Myozyme är ett pulver till koncentrat till infusionsvätska, lösning i en injektionsflaska (50 mg/flaska). Varje förpackning innehåller 1, 10 eller 25 injektionsflaskor. Eventuellt kommer inte alla förpackningsstorlekar att marknadsföras.

Pulvret är vitt till benvitt. Efter beredning är det en klar, färglös till ljusgul lösning, som kan innehålla partiklar. Den beredda lösningen måste spädas ytterligare.

Innehavare av godkännande för försäljning

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

Tillverkare

Genzyme Ireland Limited, IDA Industrial Park, Old Kilmeaden Road,
Waterford, Irland

Ytterligare upplysningar om detta läkemedel kan erhållas hos
ombudet för innehavaren av godkännandet för försäljning:

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

Denna bipacksedel ändrades senast 2024-01-25

Övriga informationskällor

Ytterligare information om detta läkemedel finns på Europeiska
läkemedelsmyndighetens webbplats <http://www.ema.europa.eu/>.
Där finns också länkar till andra webbplatser rörande sällsynta
sjukdomar och behandlingar.

Följande uppgifter är endast avsedda för hälso- och sjukvårdspersonal:

Bruksanvisning - rekonstitution, spädning och administrering

Myozyme skall beredas med vatten för injektionsvätskor, utspädd med natriumklorid 9 mg/ml (0,9 %) injektionsvätska, lösning innan det ges som intravenös infusion. Rekonstitution och spädning skall genomföras enligt godkända rutiner och med särskild hänsyn till aseptik.

På grund av produktens äggvitehaltiga natur kan partikelbildning förekomma i den rekonstituerade lösningen och de slutliga infusionspåsarna. Därför bör ett inloppsfilter med lågprotein bindningsgrad och en porstorlek på 0,2 mikrometer användas vid administrering. Det har visat sig att ett sådant filter avlägsnar synliga partiklar utan att följden blir någon märkbar förlust av protein eller aktivitet.

Beräkna det antal injektionsflaskor som skall rekonstitueras baserat på patientens individuella dosering (mg/kg) och ta ut erforderligt antal injektionsflaskor ur kylskåpet så att de når rumstemperatur (ungefär 30 minuter). Varje injektionsflaska Myozyme är endast avsedd för engångsbruk.

Använd aseptisk teknik

- **Rekonstitution**

Bered varje injektionsflaska Myozyme 50 mg med 10,3 ml vatten för injektionsvätskor med hjälp av en nål vars diameter inte överstiger 20 gauge. Tillsätt vatten för injektionsvätskor långsamt och droppvis längs flaskans sida och inte direkt på den frystorkade kakan. Luta och rulla varje injektionsflaska försiktigt.

Injektionsflaskan får inte vändas upp och ned, snurras eller skakas. Den rekonstituerade volymen är 10,5 ml innehåller 5 mg/ml, och

ser ut som en klar, färglös till ljusgul lösning som kan innehålla partiklar i form av tunna vita strimmor eller genomskinliga fibrer. Inspektera omedelbart de rekonstituerade injektionsflaskorna med tanke på främmande föremål och missfärgning. Om andra främmande partiklar än de ovan beskrivna kan ses, eller om lösningen är missfärgad, skall den inte användas. Den beredda lösningens pH är ungefär 6,2.

Efter beredning skall flaskorna omedelbart spädas ytterligare (se nedan).

- **Spädning**

Efter rekonstitution enligt ovan innehåller den rekonstituerade lösningen i injektionsflaskan 5 mg alglukosidas alfa per ml. Den rekonstituerade volymen gör att man kan dra upp exakt 10,0 ml (motsvarar 50 mg) från varje injektionsflaska. Detta skall sedan spädas ytterligare enligt följande: Dra långsamt upp den rekonstituerade lösningen från varje injektionsflaska tills den volym som behövs för patientens dos erhållits med hjälp av en nål vars diameter inte överstiger 20 gauge. Den rekommenderade slutkoncentrationen alglukosidas i infusionspåsar varierar mellan 0,5 mg/ml och 4 mg/ml. Avlägsna luften i infusionspåsen. Ta också bort en lika stor volym natriumklorid 9 mg/ml (0,9 %) injektionsvätska, lösning som skall ersättas med rekonstituerat Myozyme. Injicera långsamt rekonstituerat Myozyme direkt i natriumklorid 9 mg/ml (0,9 %) injektionsvätska, lösning. Vänd försiktigt upp och ned på eller massera infusionspåsen för att blanda den utspädda lösningen. Skaka inte infusionspåsen.

Den färdiga lösningen skall administreras så snart som möjligt efter beredning.

Ej använt läkemedel och avfall skall kasseras enligt gällande anvisningar.

- **Administrering**

Det rekommenderas att man påbörjar administreringen av den utspädda lösningen inom tre timmar. Den totala tiden mellan rekonstitution och slutförande av infusionen bör inte överstiga 24 timmar.

Den rekommenderade dosregimen för Myozyme är 20 mg/kg kroppsvikt administrerat en gång varannan vecka som intravenös infusion.

Infusionerna skall ökas gradvis. Man rekommenderar att infusionen börjar med en hastighet av 1 mg/kg/timme och gradvis ökas med 2 mg/kg/timme var 30:e minut om det inte finns några tecken på IAR (infusionsrelaterade reaktioner) tills en maximumhastighet på 7 mg/kg/timme nås.