

VEILEDNING FOR HELSEPERSONELL: HJEMMEINFUSJON AV MYOZYME® (ALGLUKOSIDASE ALFA)

Distribuert som en del av markedsføringstillatelsen for Myozyme.

Versjon 1.0, Mai 2024

Innholdsfortegnelse

1	FORMÅLET MED DETTE DOKUMENTET	4
2	INFORMASJON TIL HELSEPERSONELL SOM FORSKRIVER MYOZYME®	6
2.1	GENERELLE KRAV TIL HJEMMEINFUSJON	6
3	INFORMASJON TIL HELSEPERSONELL SOM FORSKRIVER MYOZYME® OG FOR HELSEPERSONELL SOM ADMINISTRERER MYOZYME®	8
3.1	KRAV OG ORGANISERING AV HJEMMEINFUSJON.....	8
3.2	PASIENT	8
3.3	BEHANDLENDE LEGE.....	9
3.4	HELSEPERSONELL SOM ADMINISTRERER MYOZYME®.....	12
4	INFORMASJON TIL HELSEPERSONELL SOM ADMINISTRERER MYOZYME®	14
4.1	ADMINISTRASJON AV MYOZYME®	14
4.1.1	Forskrivning.....	14
4.1.2	Apotek- og infusjonsutstyr	14
4.1.3	Utstyr	14
4.1.4	Klargjøring	15
4.1.5	Rekonstituering	16
4.1.6	Fortynning	17
4.1.7	Administrering	18
4.2	GJENKJENNELSE OG HÅNDBTERING AV BIVIRKNINGER	20
4.2.1	Gjenkjennelse av bivirkninger	20
4.2.2	Klinisk håndtering av bivirkninger.....	23
4.3	RAPPORTERING AV BIVIRKNINGER.....	26
5	YTTERLIGERE INFORMASJON	28
6	REFERANSER.....	29

Formålet med denne veiledningen er hverken å foreslå eller anbefale hjemmeinfusjon til pasienter. Avgjørelsen om å benytte hjemmeinfusjon tas av behandlende lege som kjenner pasientens nåværende kliniske status og tidligere infusjonshistorikk, i samråd med pasienten. Denne veiledningen er kun ment for å dele informasjon som kan være nyttig for helsepersonell og pasientene deres som behandles med hjemmeinfusjon.

Dette dokumentet erstatter ikke sikkerhetsinformasjonsdokumentet (SIP) som er en veiledning ment for helsepersonell, distribuert som en del av risikohåndteringsplanen.

1 FORMÅLET MED DETTE DOKUMENTET

Dette dokumentet er ment å gi veiledning til helsepersonell om behandling av pasienter som får Myozyme® (alglukosidase alfa) hjemme for å redusere risiko for medisineringsfeil ved hjemmeinfusjon og infusjonsrelaterte reaksjoner (IRR) inkludert overfølsomhetsreaksjon og anafylaktiske reaksjoner med eller uten utvikling av IgG- og IgE-antistoffer.

Beslutningen om å overføre Myozyme®-infusjonen til pasientens hjem tas av behandlende lege og skal ta hensyn til pasientens og/eller omsorgspersonens ønsker og medisinske tilstand.

Enzymerstatningsterapi (ERT) er tilgjengelig for noen av de lysosomale lagringssykdommene. Infusjonsbehandling med Myozyme er tilgjengelig for behandling av pasienter med Pompes sykdom og er generelt sett godt tolerert [1]. Hvis bestemte betingelser er oppfylt, kan ERT overføres til pasientens hjem for å gjøre det mer praktisk og enklere for pasienten.

Hvis betingelsene kan oppfylles, kan pasienten få behandling hjemme, noe som er mer behagelig og gir større fleksibilitet når det gjelder infusjonstidspunkt. Pasientene unngår å bruke tid på reise til og fra sykehuset, og pasientene kan følge et normalt utdanningsprogram og enklere organisere fritids- og jobbaktiviteter. Dessuten reduserer det avhengigheten av knappe sykehusressurser.

Hjemmeinfusjonen er underlagt behandlende lege sitt ansvar. Distribusjon av opplæringsmateriellet skal kun gjøres dersom behandlende lege bestemmer at pasienten oppfyller betingelsene for hjemmeinfusjon.

Det er behandlende leges ansvar å sørge for en sikker administrering og forsøke å unngå risiko for medisineringsfeil og redusere risikoen for IRRer, særlig overfølsomhetsreaksjoner. Dette skal sjekkes og dokumenteres av behandlende lege.

Prosessene som presenteres i dette dokumentet representerer generelle retningslinjer, men lokal medisinsk praksis og nasjonale regler og bestemmelser skal følges.

2 INFORMASJON TIL HELSEPERSONELL SOM FORSKRIVER MYOZYME®

2.1 GENERELLE KRAV TIL HJEMMEINFUSJON

Før det gjøres noen ordninger for å sette opp Myozyme®-infusjon hjemme, tar behandlende lege hensyn til følgende vurderinger:

- Hjemmeinfusjon skal utføres av helsepersonell.
- Etter en full medisinsk vurdering anses pasientens tilstand som stabil for å få infusjoner hjemme.
- Behandlende lege er ansvarlig for anbefalingen om å få Myozyme-infusjoner hjemme.
- Det må tas hensyn til pasientens underliggende komorbiditet og evne til å følge kravene til hjemmeinfusjon ved evaluering av pasienten for å kvalifisere seg til å få hjemmeinfusjon.
- Pasienten kan ikke ha en avansert sykdomstilstand som setter han eller henne i høyere risiko for komplikasjoner som krever avanserte medisinske gjenopplivningstiltak som kun er tilgjengelige på sykehus.
- Pasienten har tålt infusjonen godt enten på sykehus eller poliklinikk, og har ingen historie med moderate til alvorlige IRR-er de siste månedene.
- Pasienten må ha rimelig ukomplisert venetilgang eller en enhet for sentral venetilgang som muliggjør infusjonen.
- Pasienten må være villig og i stand til å overholde hjemmeinfusjonsprosedyrer.
- Infrastruktur, ressurser og prosedyrer for hjemmeinfusjon, inkludert opplæring, skal være etablert og tilgjengelig for helsepersonell.

- Hjemmeinfusjon skal overvåkes av helsepersonell som alltid skal være tilgjengelig under hjemmeinfusjonen og i en spesifisert tidsperiode etter infusjonen, avhengig av pasientens toleranse før hjemmeinfusjonen startes.
- Dersom pasienten får bivirkninger under hjemmeinfusjonen, skal infusjonsprosessen stoppes umiddelbart og hensiktsmessig medisinsk behandling skal startes opp.
- Påfølgende infusjoner skal skje på sykehus eller under tilfredsstillende forhold på poliklinikk inntil slike bivirkninger ikke forekommer og behandlende lege mener at det er akseptabelt å gå tilbake til hjemmeinfusjoner.
- Dose og infusjonshastighet skal være konstant ved hjemmeinfusjon, og skal ikke endres uten å konsultere med behandlende lege.

3 INFORMASJON TIL HELSEPERSONELL SOM FORSKRIVER MYOZYME® OG FOR HELSEPERSONELL SOM ADMINISTRERER MYOZYME®

3.1 KRAV OG ORGANISERING AV HJEMMEINFUSJON

Behandelnde lege er ansvarlig for organisering av hjemmeinfusjonen og må godkjenne hjemmeinfusjonsprosedyren. Infusjonssykepleier vil utføre infusjonsprosedyren i pasientens hjem.

Når pasienten er blitt vurdert som kvalifisert for hjemmeinfusjon basert på hovedkriteriene, må et sett med krav vurderes for å sikre at infusjoner av Myozyme® kan gis på en sikker, effektiv og pålitelig måte i pasientens hjem.

I prinsippet vil de første instruksjonene og treningen av infusjonssykepleieren gis på sykehuset i henhold til lokale retningslinjer. Behandlende lege og pasienten og/eller omsorgspersonen(e) diskuterer og blir enige om graden av støtte som trengs fra infusjonssykepleieren i hjemmet.

3.2 PASIENT

- Hjemmeinfusjonen av Myozyme® er underlagt behandlende lege sitt ansvar.
- Pasienten og/eller omsorgspersonen(e) har blitt informert av behandlende lege om behandlingen som skal gis hjemme, de tilhørende risikoene og tilbudet om medisinsk støtte i hjemmet, slik som overfølsomhetsreaksjoner og medisineringsfeil, og må samtykke til behandling i hjemmet.
- Pasienten og/eller omsorgspersonen(e) har forståelse av sykdommen og kan gjenkjenne bivirkninger som overfølsomhetsreaksjoner og medisineringsfeil og forstår prosedyren som skal følges hvis disse inntreffer.

- Hjemmemiljøet må være egnet for hjemmeinfusjon, inkludert et rent miljø med strøm, vann, telefon, kjøleskap og plass til å oppbevare Myozyme® og annet infusjonsutstyr.
- Pasienten/omsorgspersonen må informeres om at infusjonen alltid skal administreres med erfarent helsepersonell tilstede, dvs. infusjonssykepleier, som er trent i håndtering av en infusjonsrelatert reaksjon (IRR).
- Pasienten må være fysisk og mentalt i stand til å få infusjonene hjemme.
- Pasienten må ha venetilgang eller en enhet for sentral venetilgang som muliggjør infusjonen.
- Pasienten må følge regelmessig sykdomsmonitorering som påkrevd av behandlende lege.
- Pasienten må gis veiledningen for pasient/omsorgspersoner som inneholder informasjon om tegn og symptomer på IRRer og anbefalte tiltak. I tillegg skal en infusjonsdagbok gis til pasienten/omsorgspersonen for å registrere infusjonsdetaljer og dokumentere eventuelle bivirkninger og IRR, inkludert allergiske overfølsomhetsreaksjoner før, under eller etter infusjonen. I denne veiledningen må noen kontaktopplysninger fylles ut av behandlende lege. Denne veiledningen skal fylles ut av pasienten/omsorgspersonen, oppbevares av pasienten hjemme og vises til behandlende lege under regelmessige kontroller.

3.3 BEHANDLENDE LEGE

Behandlende lege er ansvarlig for igangsetting av alle nødvendige administrasjonstiltak som gjør det mulig for de andre involverte partene (pasient og/eller omsorgsperson(er), infusjonssykepleier, apotek) å fortsette. Det er behandlende leges ansvar å sørge for en sikker

administrering og forsøke å unngå risiko for medisineringsfeil og redusere risikoen for IRRer, særlig overfølsomhetsreaksjoner.

- Behandlende lege har informert pasienten og/eller omsorgspersonen(e) om sykdommen, behandlingen og hjemmeinfusjonsprosedyren som angitt i avsnitt 3.2. «Pasient».
- Behandlende lege er ansvarlig for å fastsette infusjonshastighet og dose. Myozyme[®]-infusjonshastigheten som pasienten tolererte i et mer kontrollert miljø (f.eks. på sykehuset eller poliklinikk) skal ikke endres i hjemmesituasjonen, med mindre det er nødvendig av sikkerhetshensyn.
- Behandlende lege vil, sammen med de involverte parter (pasient og/eller omsorgsperson(er), infusjonssykepleier, apotek osv), etablere nivået for nødvendig støtte i hjemmet
- Hjemmeinfusjonen er underlagt behandlende lege sitt ansvar. Distribusjon av opplæringsmateriellet skal kun gjøres dersom behandlende lege bestemmer at pasienten oppfyller betingelsene for hjemmeinfusjon. Hvis det oppstår en IRR eller overfølsomhetsreaksjon skal infusjonssykepleier informere behandlende lege umiddelbart.
- Behandlende lege forskriver legemidlet, inkludert alt nødvendig utstyr for administrering av Myozyme[®] hjemme.
- Hvis behandling før infusjon (f.eks. antihistaminer, paracetamol, ibuprofen, kortikosteroider) blir administrert på sykehus eller poliklinikk, må behandlingen gis basert på en pasientspesifikk forskrivning. Denne behandlingen skal ikke endres ved hjemmeinfusjon med mindre det er medisinsk begrunnet ifølge behandlende lege.

- Akuttbehandling må være tilgjengelig og gis basert på en pasientspesifikk forskrivning ved IRR. Instruksjoner (f.eks. i en loggbok eller tilsvarende) og en dokumentert akuttplan må gis til infusjonsansvarlig før hjemmeinfusjon. I tillegg bør kardiopulmonær gjenopplivningsutstyr være lett tilgjengelig under infusjonen hjemme. Behandlende lege må sikre at det finnes en rask og pålitelig kommunikasjonskanal for å reagere i en akuttsituasjon der det trengs øyeblikkelig medisinsk hjelp.
- Helsepersonell bes melde nye, uventede og alvorlige mistenkte bivirkninger på elektronisk meldeskjema: www.dmp.no/meldeskjema. Bivirkninger kan også meldes til Sanofi Norge AS ved å gå inn på www.sanofi.no eller ringe 46 91 80 01 (kl. 10-14).
- Pasienter som opplever bivirkninger, må kontakte behandlende lege eller medisinsk stedfortreder øyeblikkelig. Bivirkninger kan oppstå under infusjonen eller opptil flere timer etter at infusjonen er avsluttet. Det kan hende at påfølgende infusjoner må utføres på sykehus eller poliklinikk inntil slike bivirkninger ikke lenger oppstår, avhengig av hva behandlende lege eller medisinsk stedfortreder beslutter.
- Behandlende lege har ansvaret for regelmessig sykdomsovervåkning hos pasienten som får hjemmeinfusjon.
- Behandlende lege og infusjonssykepleieren har ansvaret for tilfredsstillende planlegging og overvåkning av infusjonene. I tillegg etablerer behandlende lege en infusjonsprotokoll som loggføres av infusjonssykepleier (f.eks. loggbok eller tilsvarende).
- Behandlende lege må gi pasient-/omsorgspersonveiledningen til pasienten/omsorgspersonen. Denne veiledningen fungerer som en

infusjonsdagbok hvor pasienter kan registrere infusjonene og eventuelle bivirkninger under eller etter infusjonen. Alle bivirkninger (dvs. hodepine osv.) som pasienten har opplevd før infusjonsstart, skal også registreres.

3.4 HELSEPERSONELL SOM ADMINISTRERER MYOZYME®

Infusjonssykepleieren vil ha en koordinerende rolle overfor behandlende lege og pasienten og/eller omsorgspersonen(e) når det gjelder hjemmebehandling, og vil sammen med behandlende lege, pasient og/eller omsorgsperson(er) fastslå behovet for nødvendig støtte i hjemmet.

- Infusjonssykepleieren er kvalifisert for å gi intravenøse infusjoner og har fått tilfredsstillende opplæring i Pompes sykdom og administrering av Myozyme. I tillegg har han/hun fått opplæring i mulige bivirkninger (inkludert alvorlige bivirkninger som anafylaktiske reaksjoner) og hvordan disse skal håndteres.
- Før infusjonen vil infusjonssykepleieren kontrollere pasienten for å sjekke pasientens generelle tilstand for å oppdage enhver tilstand som kan forstyrre infusjonen. Eventuelle abnormaliteter loggføres i infusjonsdagboken. Hvis pasienten har noen akutte sykdommer, skal behandlende lege konsulteres før infusjonen fortsettes.
- Infusjonssykepleieren skal nøye følge de forskrevne metodene for klargjøring og administrering av Myozyme®, slik som forskrevet av behandlende lege. Infusjonssykepleier sjekker at legemidler forskrevet til premedisinering og akutte situasjoner og utstyr er tilgjengelig.
- Infusjonssykepleier endrer ikke dosen av Myozyme® og infusjonsprotokollen (hastighet, varighet og infusjonstrinn) av Myozyme® forskrevet av behandlende lege, med mindre det er nødvendig på grunn av sikkerhetshensyn.

- Infusjonssykepleieren loggfører hver administrering av Myozyme® i en dagbok eller tilsvarende og deler disse med behandlende lege regelmessig som avtalt.
- Behandlende lege og infusjonssykepleieren har ansvaret for tilstrekkelig planlegging og overvåkning av infusjonene etter avtale med pasienten eller pasientens omsorgsperson.
- Hvis det oppstår en bivirkning, slik som overfølsomhetsreaksjoner, medisineringsfeil eller IRRer under eller etter infusjonen, må infusjonssykepleieren følge de pasientspesifikke akutttiltakene som er gitt av behandlende lege i en akuttplan. Dette kan omfatte midlertidig stans eller seponering av infusjonen.
- Ved bivirkninger kontakter infusjonssykepleieren behandlende lege og/eller 112. Alle bivirkninger, inkludert medisineringsfeil, skal loggføres av infusjonssykepleieren for videre rapportering til Direktoratet for medisinske produkter og Sanofi innen 24 timer, i henhold til lokale forskrifter.

4 INFORMASJON TIL HELSEPERSONELL SOM ADMINISTRERER MYOZYME®

4.1 ADMINISTRASJON AV MYOZYME®

Bruksanvisning for rekonstituering, fortynning og administrasjon finnes i preparatomtalen til Myozyme®.¹ En detaljert beskrivelse er gitt i dette avsnittet.

4.1.1 Forskrivning

Behandelnde lege bestemmer dose, nødvendig rekonstituert volum, infusjonsvolum, infusjonshastighet, premedisinering, akuttmedisinering og eventuelle endringer. Alle endringer i denne forskrivningen (dose eller infusjonshastighet) skal loggføres.

Siden Myozyme® forskrives i en kroppsvektavhengig dose, er det viktig å overvåke pasientens vekt regelmessig for å sikre riktig dosering av legemidlet. Behandlende lege bestemmer hvordan man skal gå frem ved endringer i kroppsvekt. For å redusere risikoen for medisineringsfeil i hjemmemiljøet, er riktig bestemmelse av infusjonsvolum svært viktig og må defineres av behandlende lege.

4.1.2 Apotek- og infusjonsutstyr

Behandling og alt nødvendig utstyr vil bli levert i henhold til lokale ordninger og bestemmelser.

4.1.3 Utstyr

Legemidlet og følgende utstyr leveres til infusjonssykepleier med egnet resept fra behandlende lege.

- Hetteglass med Myozyme®, pulver til konsentrat til infusjonsvæske, oppløsning (50 mg per hetteglass), skal oppbevares i et rent kjøleskap ved en temperatur mellom +2°C og +8°C (vurder antall hetteglass som trengs basert på pasientens kroppsvekt).

- Sterilt vann til injeksjon for å rekonstituere Myozyme® (10,3 ml per hetteglass)
- 0,9% NaCl-oppløsning for intravenøs administrering
- 0,9% NaCl-oppløsning til å skylle infusjonsslangen
- 0,5% klorheksidin i 70% alkohol (antiseptisk oppløsning)
- Nødvendig antall sprøyter på 10 ml, 20 ml og 50 ml sprøyter avhengig av dosen av Myozyme®
- Sterile kanyler (Gauge 20G eller 21G), planlegg 2 kanyler per 4 hetteglass
- 0,2 µm in-line filter med lav proteinbinding
- Utstyr for å sette inn en perifer eller sentral venetilgang, i henhold til lokale retningslinjer
- Utstyr som trengs til intravenøs infusjon i henhold til lokale retningslinjer og utstyr som trengs for å oppnå hygieniske og aseptiske forhold, samt håndtering av avfall i henhold til lokale retningslinjer.
- Legemidler til premedisinering (hvis aktuelt)
- Legemidler til akutte situasjoner

4.1.4 Klargjøring

MERK: Bruksanvisningen (fortynning og administrering) finnes i preparatomtalen for Myozyme.¹ En detaljert beskrivelse finnes i dette avsnittet.

Før tilberedning av Myozyme®, må infusjonssykepleieren kontrollere pasientens medisinske status, inkludert vitale tegn og tegn på feber eller infeksjon. Pasienter med en akutt underliggende sykdom, inkludert en luftveisinfeksjon som kan føre til respirasjonsproblemer, virker å ha større risiko for IRR på tidspunktet for infusjonen av Myozyme®. I slike tilfeller må infusjonen ikke utføres, og behandlingen skal gjenopptas når pasienten er helt frisk etter vurdering av behandlende lege.

Det er også anbefalt å sette inn enheten for venetilgang (perifert venekateter), eller koble på pasientens sentrale venetilgang før rekonstituering, i henhold til lokale prosedyrer, slik at Myozyme® kan administreres umiddelbart etter rekonstituering.

- Infusjonssykepleier skal sørge for at hetteglassene oppnår romtemperatur før infusjonsvæsken klargjøres. Hetteglassene tas ut av kjøleskapet og settes til side i ca. 30 minutter slik at de oppnår romtemperatur.
- Kontroller at antallet hetteglass er korrekt.
- Kontroller hetteglassene for misfarging, fremmedpartikler og utløpsdato. Hetteglassene skal ikke brukes etter utløpsdatoen på etiketten.

4.1.5 Rekonstituering

Aseptisk teknikk skal benyttes under rekonstituering!

- Fjern vippelokket fra Myozyme®-hetteglasset.
- Desinfiser gummiproppen til Myozyme®-hetteglasset med klorheksidin, og la den lufttørke.
- Åpne sterilt vann til injeksjonsvæsker.
- Trekk opp den nødvendige mengden (ml) med sterilt vann i sprøyten
 - Hvert hetteglass skal rekonstitueres ved å sakte injisere 10,3 ml vann til injeksjonsvæsker. Hvert hetteglass blir da 50 mg/10 ml (5 mg/ml).
- Unngå at vann treffer pulveret med kraft, og unngå skumdannelse. Dette gjøres ved å tilføre vann langsomt og dråpevis langs innsiden av hetteglasset og ikke direkte på det frysetørkede pulveret.
- Vipp og rull hvert hetteglass forsiktig for å løse opp det frysetørkede pulveret. Ikke snu hetteglasset opp ned, ikke snurr eller rist det.
- Det kan oppstå små bobler etter blanding. La oppløsningen stå i 10-20 minutter, slik at eventuelle bobler forsvinner, og for å sikre at pulveret er tilstrekkelig rekonstituert.

- Gjenta prosessen for alle Myozyme[®]-hetteglassene.
- For å unngå risikoen for å gjennomføre hetten kan nålene byttes for hvert 4. hetteglass. *Ikke nevnt i preparatomtalen til Myozyme, men indikert i kliniske studier med NEXVIAZYME "4. Unngå for mange punkteringer av samme propp eller å punktere mange propper med samme kanyle."*
- Umiddelbart etter rekonstituering skal hetteglassene kontrolleres visuelt for partikler og misfarging. Det rekonstituerte konsentratet skal fremstå som en klar, fargeløs til svakt gul oppløsning som kan inneholde partikler i form av tynne, hvite tråder eller gjennomsiktige fibre. Hvis det observeres partikler eller hvis oppløsningen er misfarget, skal det rekonstituerte legemidlet ikke brukes.
- Det anbefales å fortynne Myozyme[®] umiddelbart etter rekonstituering.

4.1.6 Fortynning

Den rekonstituerte oppløsningen skal fortynnes med 0,9 % NaCl i vann til en endelig konsentrasjon på 0,5 mg/ml til 4 mg/ml. Se tabell 1 for anbefalte totale infusjonsvolumer basert på pasientens kroppsvekt.

- Desinfiser hetten/åpningen til én pose med 0,9 % NaCl-oppløsning ved bruk av klorheksidin, og la den lufttørke.
- Sett kanylen i hetten på infusjonsposen og trekk opp et volum på 0,9 % NaCl-oppløsning, tilsvarende volumet av den rekonstituerte Myozyme[®]-oppløsningen som skal tilsettes. Dette tilsvarer 1 ml for 5 mg forskrevet Myozyme[®].
 - *Hvis for eksempel den forskrevne dosen er 1200 mg for en pasient på 60 kg, er volumet av Myozyme[®] som skal fortynnes $1200 \text{ mg} / 5 \text{ mg/ml} = 240 \text{ ml}$. 240 ml bør derfor fjernes fra posen med 0,9 % NaCl-oppløsning.*
- Fjern all luft fra infusjonsposen.
- Trekk opp 10 ml (tilsvarende 50 mg) fra hvert hetteglass med rekonstituert Myozyme[®]-oppløsning sakte inn i en sprøyte.

- Den rekonstituerte oppløsningen skal tilsettes sakte og direkte i 0,9 % NaCl-oppløsningen. Unngå skumdannelse og risting av infusjonsposen. Unngå at det kommer luft i infusjonsposen
 - *I eksempelet beskrevet ovenfor, vil 240 ml rekonstituert Myozyme® tilsettes infusjonsposen.*
- Bland infusjonsposen med oppløsningen ved å forsiktig vende eller massere infusjonsposen. Det skal ikke ristes.
- Beskytt infusjonsposen mot varme eller vibrasjoner og administrer umiddelbart etter fortynning.
- Etter fortynning anbefales umiddelbar bruk. Kjemisk og fysisk stabilitet under bruk er imidlertid vist i 24 timer ved 2 til 8°C ved oppbevaring under beskyttelse mot lys.

4.1.7 Administrering

- Etter fortynning av Myozyme®, koble slangesettet til infusjonsposen og fjern eventuell luft.
- Koble til et 0,2 µm in-line filter med lav proteinbinding til infusjonsposen. Dette trinnet gjør at man unngår administrering av utilsiktede partikler som har blitt introdusert under tilberedning av infusjonen.
- Fyll infusjonsslangen med fortynnet Myozyme® ved hjelp av tyngdekraften, og koble infusjonsslangen til pasientens venetilgang.
- Kontroller pasientens puls, blodtrykk, respirasjonsfrekvens og kroppstemperatur før du starter infusjonen.
- Den første infusjonshastigheten bør ikke være høyere enn 1 mg/kg kroppsvekt/time for å minimere risikoen for IRR. Hvis infusjonen tolereres godt, økes infusjonshastigheten trinnvis (med 2 mg/kg

kroppsvekt/time) hvert 30. minutt til en maksimal hastighet på 7 mg/kg kroppsvekt/time (se tabell 1 for ytterligere detaljer).

- Når infusjonen er fullført skal den intravenøse slangen skylles med 0,9 % NaCl-oppløsning med samme hastighet for å fjerne eventuell gjenværende Myozyme® fra slangen.
- Koble ut infusjonsslangen fra pasientens venetilgang og fjern kanylen. Kast alt utstyr i henhold til lokale forskrifter.
- Myozyme® skal ikke gis i samme intravenøse slange som andre legemidler.

Myozyme®-dosen, infusjonshastighet, samt eventuelle endringer, bestemmes av behandlende lege. Behandlingen skal ikke endres i hjemmemiljøet med mindre det er medisinsk begrunnet etter vurdering av behandlende lege. Infusjonen og eventuelle observasjoner skal loggføres i en dagbok eller tilsvarende.

Tabell1: Infusjonsvolum og trinnvis økning av infusjonshastigheten.

PASIENTENS VEKT (kg)	TOTALT INFUSJONSVOLUM (ml)	TRINN 1	TRINN 2	TRINN 3	TRINN 4
		1 mg/kg/time	3 mg/kg/time	5 mg/kg/time	7 mg/kg/time
1,25-10	50	3 ml/t	8 ml/t	13 ml/t	18 ml/t
10,1-20	100	5 ml/t	15 ml/t	25 ml/t	35 ml/t
20,1-30	150	8 ml/t	23 ml/t	38 ml/t	53 ml/t
30,1-35	200	10 ml/t	30 ml/t	50 ml/t	70 ml/t
35,1-50	250	13 ml/t	38 ml/t	63 ml/t	88 ml/t
50,1-60	300	15 ml/t	45 ml/t	75 ml/t	105 ml/t
60,1-100	500	25 ml/t	75 ml/t	125 ml/t	175 ml/t
100,1-120	600	30 ml/t	90 ml/t	150 ml/t	210 ml/t

Merk Pasienter med redusert hjerte- og/eller respirasjonsfunksjon har risiko for infusjonsrelatert volumoverbelastning som kan føre til alvorlig forverring av hjerte-

og/eller respirasjonstilstanden opptil hjerte- og respirasjonssvikt. Den trinnvise økningen av infusjonshastigheten gjøres hvert 30. minutt og kan kun vurderes i fravær av infusjonsrelaterte reaksjoner.

4.2 GJENKJENNELSE OG HÅNTERING AV BIVIRKNINGER

4.2.1 Gjenkjennelse av bivirkninger

De hyppigst rapporterte bivirkningene er IRR-er, uavhengig av om legemidlet er administrert på sykehus eller i setting utenfor sykehus.

En IRR er definert som enhver bivirkning som oppstår under infusjonen eller i timene etter fullført infusjon, og som vurderes til å ha en mulig årsakssammenheng med administrering av legemidlet (Myozyme®). Relaterte hendelser som skjer etter post-infusjonsperioden kan vurderes som en IRR etter rapportørens skjønn.

IRR kan oppstå når som helst under og/eller i løpet av noen få timer etter infusjonen og er mer sannsynlig med høyere infusjonshastigheter.

Overfølsomhetsreaksjoner, inkludert anafylaksi, er også rapportert hos pasienter behandlet med Myozyme®.

Tabell 2 illustrerer de observerte tegnene og symptomene på IRRer/overfølsomhetsreaksjoner/anafylaktiske reaksjoner. Se avsnitt 4 i preparatomtalen for fullstendig sikkerhetsinformasjon for Myozyme®.

Tabell2: Observerte tegn og symptomer på IRRer/overfølsomhetsreaksjoner/anafylaktiske reaksjoner

Organklassesystem	Tegn/Symptom*
Muskel-skjelett	Artralgi Muskelspasmer Myalgi
Respiratoriske	Apné Bronkospasme Dyspné

Organklassesystem	Tegn/Symptom*
	Faryngealt ødem Halsirritasjon Hoste Hvesing Hypoksi Redusert oksygenmetning Respirasjonsstans Respiratorisk ubehag Stridor Takypné Tett hals
Kardiovaskulære	Blekhet Bradykardi Cyanose Hjertestans Hypertensjon Hypotensjon Palpitasjoner Rødming Takykardi Vasokonstriksjon
Hud	Blemmer Erytem Forbigående misfarging av huden Hyperhidrose Kløe Livedoretikkel Urtikaria Utslett
Nervesystemet	Agitasjon Hodepine Parestesi Rastløshet Skjelving Smerte Somnolens Svimmelhet

Organklassesystem	Tegn/Symptom*
Gastrointestinale	Abdominale smerter Brekninger Diaré Dysfagi Dyspepsi Kvalme Oppkast
Øye	Konjunktivitt Periorbitalt ødem Økt lakrimasjon
Generelle lidelser og reaksjoner på administrasjonsstedet	Angioødem Ansiktsødem Asteni Frysninger Irritasjon Malaise Perifert ødem Perifer kulde Pyreksi Reaksjoner på infusjonsstedet (inkludert smerte, hevelse, indurasjon, ekstravasasjon, erytem, urtikaria og kløe) Ubehag/smerter i brystet Utmattelse Varmefølelse/kuldefølelse
*Tegn og symptomer er i alfabetisk rekkefølge og ikke i rekkefølge etter frekvens.	

- Antihistaminer, antipyretika og/eller kortikosteroider kan gis for å forebygge eller redusere IRR. IRRer kan imidlertid fortsatt oppstå hos pasienter som har fått premedisinering.
- Pasienter med en akutt underliggende sykdom på tidspunktet for infusjon av Myozyme ser ut til å ha større risiko for IRRer. Pasienter med avansert Pompes sykdom kan ha redusert hjerte og

respirasjonsfunksjon som kan gi høyere risiko for alvorlige komplikasjoner fra infusjonsrelaterte reaksjoner.

- Pasienter med nedsatt hjerte- og/eller respirasjonsfunksjon har risiko for infusjonsrelatert volumoverbelastning, noe som kan føre til alvorlig forverring av hjerte- og/eller respirasjonstilstanden opptil hjerte- og respirasjonssvikt.
- Pasienter bør overvåkes etter infusjonen i et tidsrom definert av behandlende lege.

4.2.2 Klinisk håndtering av bivirkninger

Flesteparten av de rapporterte IRRer og overfølsomhetsreaksjonene var av mild til moderat grad, og ble håndtert i henhold til standard klinisk praksis (se preparatomtalen til Myozyme® for ytterligere detaljer)[1] .

Hensiktsmessige tiltak for støtte og overvåkning ved akutte situasjoner som bestemt av behandlende lege skal være på plass i henhold til pasientens individuelle akuttplan.

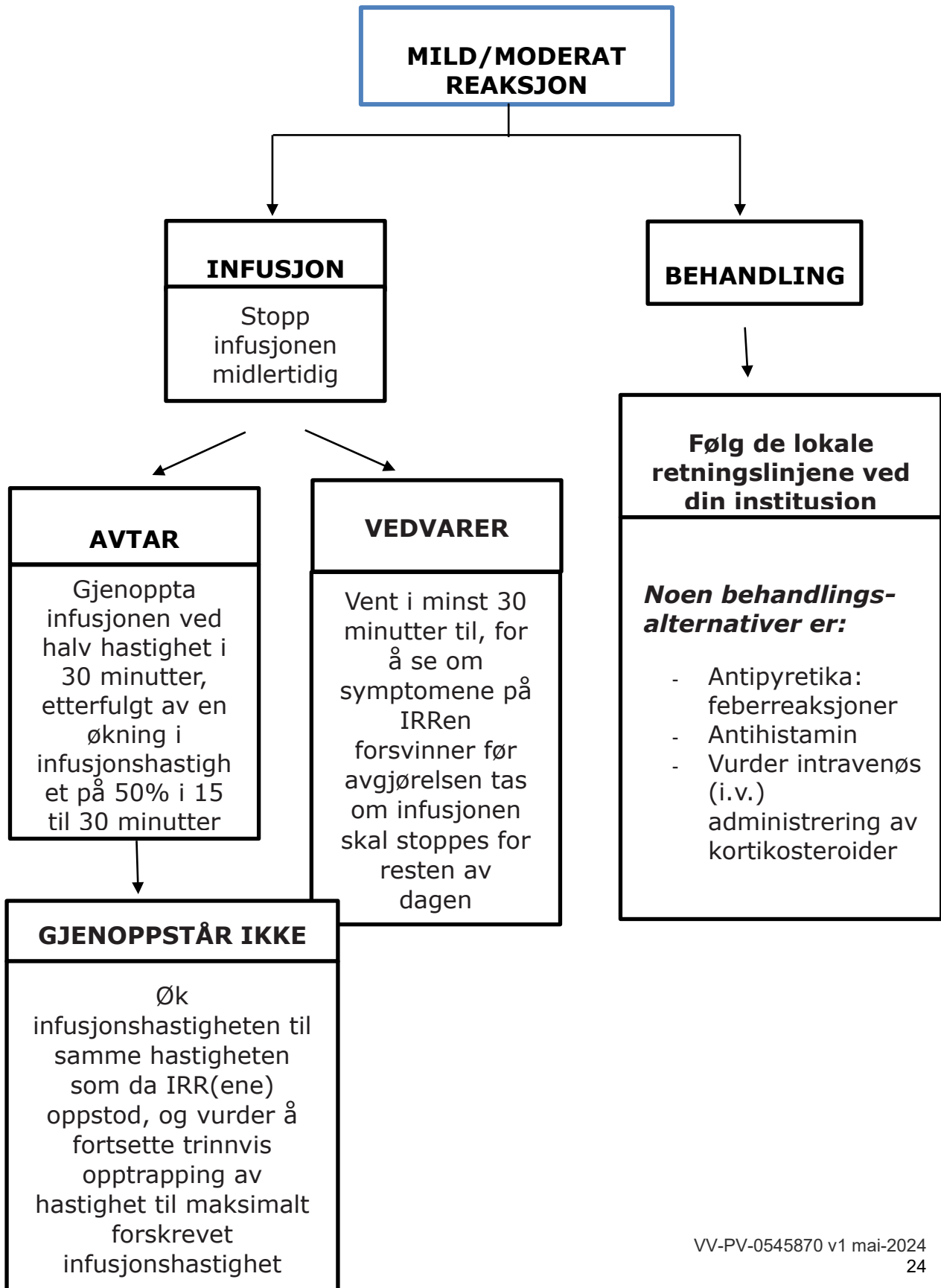
Hvis pasienten får IRRer ved hjemmeinfusjon, inkludert overfølsomhets- og anafylaktiske reaksjoner, skal infusjonsprosessen stoppes umiddelbart, men ikke fjernes, tiltakene som angitt i den individuelle akuttplanen bør følges avhengig av alvorligheten av IRR, dvs. stoppe midlertidig eller fullstendig, og hensiktsmessig medisinsk behandling initieres hvis nødvendig.

Se [figur 1](#) og [figur 2](#) for eksempler på klinisk behandling av milde/moderate eller alvorlige bivirkninger.

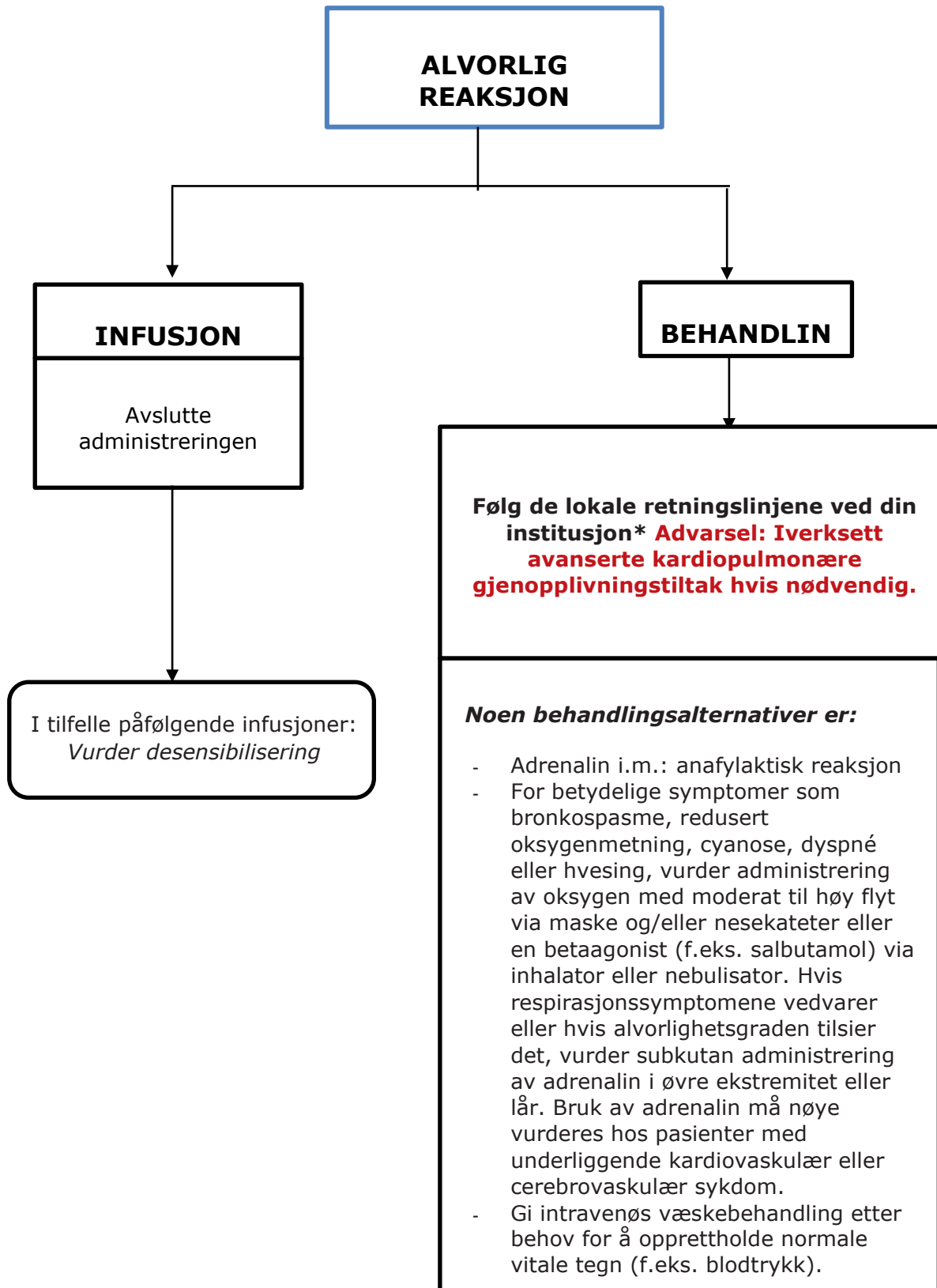
Det kan være at påfølgende infusjoner må utføres på sykehus eller poliklinikk inntil bivirkningene er forsvunnet og behandlende lege fastslår at det er akseptabelt å gå tilbake til hjemmeinfusjon.

Dose og infusjonshastighet skal ikke endres uten å konsultere med behandlende lege.

Figur1: Klinisk behandling av milde til moderate reaksjoner.



Figur2: Klinisk behandling av alvorlige reaksjoner, f.eks. overfølsomhets-/anafylaktiske reaksjoner



**Kontraindikasjoner skal alltid veies opp mot nytten eller behovet for å bruke adrenalin som livreddende tiltak ved livstruende anafylaktiske reaksjoner.*

4.3 RAPPORTERING AV BIVIRKNINGER

En bivirkning (uønsket hendelse) er definert som enhver fysisk, psykologisk eller atferdsmessig hendelse hos en pasient som får administrert et legemiddel, og der hendelsen ikke nødvendigvis har en årsakssammenheng med behandlingen.

Hendelser kan være alvorlige eller ikke-alvorlige, og alvorlighetsgraden vurderes av rapportøren eller Sanofi.

En alvorlig uønsket hendelse/bivirkning omfatter et forhold som får minst en av de følgende utfallene eller karakteristikkene:

- Resulterer i dødsfall.
- Er livstruende (enhver hendelse der pasienten stod i fare for å dø da hendelsen inntraff; gjelder ikke en hendelse som hypotetisk sett kunne ført til dødsfall hvis den hadde vært mer alvorlig).
- Krevde sykehusinnleggelse eller forlengelse av eksisterende sykehusopphold.
- Fører til vedvarende eller betydelig funksjonshemming/arbeidsuførhet (enhver uønsket hendelse/bivirkning som forårsaket en vesentlig reduksjon av pasientens evne til å utføre normale livsfunksjoner).
- En medfødt anomali/fødselsdefekt.
- Er en viktig medisinsk hendelse (enhver hendelse som, etter medisinsk vurdering, kan skade pasienten, og som kan kreve medisinsk eller kirurgisk intervensjon for å forhindre ett av resultatene angitt ovenfor).

Helsepersonell bes melde nye, uventede og alvorlige mistenkte bivirkninger på elektronisk meldeskjema: www.dmp.no/meldeskjema.

Bivirkninger kan også meldes til Sanofi Norge AS ved å gå inn på www.sanofi.no eller ringe 46 91 80 01 (kl. 10-14).

Hvis pasienten oppdager at det ble gjort en feil i klargjøringen og/eller administreringen av legemidlet, skal pasienten eller infusjonssykepleieren informere behandlende lege for å bestemme hensiktsmessige tiltak. Alle

medisineringsfeil bør rapporteres som en spontanrapport til Sanofi Norge AS av behandlende lege.

5 YTTERLIGERE INFORMASJON

Preparatomtalen inneholder den fullstendige indikasjonen og ytterligere informasjon om godkjent bruk av Myozyme[®] (alglukosidase alfa). Se oppdatert preparatomtale og opplæringsmateriell på www.felleskatalogen.no.

Det europeiske legemiddelkontoret (The European Medicines Agency (EMA)) (se <http://www.ema.europa.eu>).

6 REFERANSER

1. Myozyme preparatomtale:
https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/myozyme-epar-product-information_en.pdf
2. Ditters IAM, van der Beek NAME, Brusse E, van der Ploeg AT, van den Hout JMP, Huidekoper HH. Home-based enzyme replacement therapy in children and adults with Pompe disease; a prospective study. *Orphanet J Rare Dis.* 2023 8. mai;18(1):108.
3. Fiumara A, Lanzafame G, Sapuppo A, Arena A, Cirnigliaro L, Barone R. Positive Impact of Home ERT for Mucopolysaccharidoses and Pompe disease: The Lesson Learnt from the COVID-19 Pandemic. *Healthcare (Basel).* 2023 april 19;11(8):1176.
4. Heinrich R, Claus F, Schoenfelder T. The patients` perspective on home-based infusion: A longitudinal observational study in the German healthcare setting for patients with lysosomal storage disorders treated with enzyme replacement therapy. *Mol Genet Metab Rep.* 2023 Mar 29;35:100971.