

Til helsepersonell

Amicus Therapeutics Europe Ltd. har fått markedsføringstillatelse for en ny behandling av sent debuterende Pompes sykdom (LOPD).

Mer spesifikt gjelder dette ▼ Pombiliti® (cipaglukosid alfa) 105 mg pulver til konsentrat til infusjonsvæske, som er en enzym-erstatningsterapi til langtidsbruk. Den brukes i kombinasjon med enzymstabilisatoren Opfolda (miglustat) til behandling av voksne med sent debuterende Pompes sykdom (mangel på surt alfa-glukosidase [GAA]).

Behandlingen skal initieres og overvåkes av lege med erfaring i diagnostisering og behandling av pasienter med Pompes sykdom eller andre arvelige metabolske eller nevromuskulære sykdommer.

Pombiliti er ment å erstatte det manglende eller svekkede endogene enzymet ved sent debuterende Pompes sykdom.

For å støtte riktig bruk av Pombiliti/Opfolda vedlegger Amicus en opplæringspakke i henhold til regulatoriske krav i forbindelse med godkjenningen. Disse dokumentene gir informasjon om riktig utvelgelse av hvilke pasienter som kan få infusjonsbehandling med Pombiliti/Opfolda hjemme. Opplæringspakken inneholder også informasjon om potensielle risikoer ved behandlingen og veiledning om tiltak for å minimere disse risikoene, samt støtte til samtaler med pasienter.

Opplæringspakken omfatter:

- Medisineringsfeil i forbindelse med hjemmeinfusjoner
- Infusjonsrelaterte reaksjoner, inkludert hypersensitivitetsreaksjoner og anafylaktiske reaksjoner med eller uten utvikling av IgG- og IgE-antistoffer

Vedlagt finner du en veiledning i hjemmeinfusjoner for helsepersonell og en veiledning for pasienter/omsorgspersoner, inkludert en infusjonsdagbok. Formålet med veiledningen i hjemmeinfusjoner er å minimere risikoen for feilmedisinering når Pombiliti/Opfolda administreres hjemme, og å gi tydelige retningslinjer for:

- a) hvilke pasienter som er egnet for hjemmeinfusjon,
- b) klargjøring og administrering av de to produktene hjemme, og
- c) identifisering og håndtering av bivirkninger, inkludert infusjonsrelaterte reaksjoner.

Formålet med veiledningen for pasienter/omsorgspersoner er å minimere risikoen for infusjonsrelaterte reaksjoner, hypersensitivitetsreaksjoner og anafylaktiske reaksjoner ved hjemmeinfusjoner ved å gi tydelige retningslinjer for identifisering og håndtering av bivirkninger, inkludert infusjonsrelaterte reaksjoner. Hensikten er også å tilby en metode for å dokumentere pasientens hjemmeinfusjoner og infusjonsrelaterte reaksjoner, og dermed bidra til å sikre at denne informasjonen er lett tilgjengelig for helsepersonell som administrerer Pombiliti/Opfolda til pasienten hjemme.

Ønsker du mer informasjon om bruk av Pombiliti/Opfolda eller vil du bestille flere eksemplarer av disse dokumentene, kan du kontakte Amicus Therapeutics Medical Information på telefon (+47) 800 13837 eller e-post [MedInfo@amicusrx.com](mailto:MedInfo@amicusrx.com).

Med vennlig hilsen

*Sofia Nordin,*

Medisinsk sjef, Amicus Nordics

▼ Dette legemidlet er underlagt særlig overvåking for å oppdage ny sikkerhetsinformasjon så raskt som mulig. Helsepersonell oppfordres til å melde enhver mistenkt bivirkning på elektronisk meldeskjema: [www.dmp.no/meldeskjema](http://www.dmp.no/meldeskjema)

Referanser:

Preparatomtalen for Pombiliti og Opfolda finnes på [www.felleskatalogen.no](http://www.felleskatalogen.no)

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/pombiliti#ema-inpage-item-product-info>

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/opfolda#ema-inpage-item-product-info>

**Amicus Therapeutics Europe Limited**  
**Block 1, Blanchardstown Corporate Park, Ballycoolin Road,**  
**Stown, Dublin D15 AKK1, Irland**

[www.amicusrx.com](http://www.amicusrx.com) | Registrering #632070 | Moms #3588734KH

