

# Kotona annettavia Aldurazyme (laronidaasi) -infuusioita koskeva opas terveydenhuollon ammattilaisille

## Versio 1.0

Tämän oppaan tarkoituksena ei ole ehdottaa eikä suositella kotona annettavaa infuusiohoitoa yksittäiselle potilaalle. Kotona tapahtuvan infuusiohoidon käytöstä päättää hoidon määrännyt terveydenhuollon ammattilainen, joka tuntee potilaan senhetkisen kliinisen tilan ja aiemman infuusiotaustan. Päätös tehdään yhdessä potilaan ja/tai häntä hoitavan henkilön kanssa. Tämän oppaan tarkoitus on ainoastaan jakaa tietoa, josta voi olla apua terveydenhuollon ammattilaisille ja heidän kotona annettavaa infuusiohoitoa saaville potilailleen tai potilaita hoitaville henkilöille.

# SISÄLLYSLUETTELO

<b>SISÄLLYSLUETTELO</b> .....	<b>2</b>
<b>1 TARKOITUKSET JA TAVOITTEET</b> .....	<b>3</b>
<b>2 TIETOA ALDURAZYME-VALMISTETTA MÄÄRÄÄVILLE TERVEYDENHUOLLON AMMATTILAISILLE</b> .....	<b>4</b>
2.A) KOTONA ANNETTAVIIN INFUUSIOIHIN LIITTYVÄT YLEISET VAATIMUKSET .....	4
2.B) KOTONA ANNETTAVIIN INFUUSIOIHIN LIITTYVÄT VAATIMUKSET JA JÄRJESTELYT .....	5
2.C) POTILAAN SOVELTUVUUS .....	6
2.D) ALDURAZYME-VALMISTETTA MÄÄRÄÄVÄT TERVEYDENHUOLLON AMMATTILAISET .....	7
2.E) LÄÄKKEEN MÄÄRÄÄMINEN .....	8
<b>3 TIETOA ALDURAZYME®-VALMISTEEN ANTAMISESTA</b> .....	<b>9</b>
3.A) INFUUSION ANTAVA TERVEYDENHUOLLON AMMATTILAINEN .....	9
3.B) VAADITTAVAT TARVIKKEET .....	10
3.C) VALMISTELU .....	11
3.D) LAIMENTAMINEN .....	12
3.E) LÄÄKEVALMISTEEN ANTAMINEN .....	13
<b>4 TIETOA ALDURAZYME®-VALMISTETTA MÄÄRÄÄVILLE TERVEYDENHUOLLON AMMATTILAISILLE JA ALDURAZYME®-VALMISTETTA ANTAVILLE TERVEYDENHUOLLON AMMATTILAISILLE</b> .....	<b>16</b>
4.A) ALDURAZYME-VALMISTETTA MÄÄRÄÄVÄ TERVEYDENHUOLLON AMMATTILAINEN .....	16
4.B) ALDURAZYME®-VALMISTEEN TURVALLISUUSTIEDOT .....	16
4.C) TURVALLISUUSRAPORTOINTI.....	22
4.D) LISÄTIETOA .....	23
<b>5 VIITTEET</b> .....	<b>23</b>

# 1 TARKOITUKSET JA TAVOITTEET

- Tämän asiakirjan päätarkoituksena on tarjota terveydenhuollon ammattilaisille neuvoja sellaisten potilaiden hoitoon, jotka saavat Aldurazyme-valmistetta kotona. Näin pyritään minimoimaan seuraavat merkittävät riskit: ”kotona annettavien infuusioiden yhteydessä tapahtuvat lääkitysvirheet” ja ”infuusioon liittyvät reaktiot, kuten yliherkkyysoireet ja anafylaktiset reaktiot, joiden yhteydessä saatetaan todeta IgG- ja IgE-vasta-aineiden kehittymistä”.
- Aldurazyme-infuusiohoito on ainoa saatavilla oleva hyväksytty lääke mukopolysakkaridoosi I -taudin (MPS I) muiden kuin neurologisten oireiden hoitoon. Hoito on yleensä hyvin siedetty. Mukavuussyistä ja potilaan elämänlaadun parantamiseksi entsyymikorvaushoitoinfusioiden voidaan siirtää toteutettaviksi potilaan kotona, jos tietyt vaatimukset pystytään täyttämään. Jos vaatimukset täyttyvät, potilas voi saada hoidon kotonaan, mikä tekee hoidosta miellyttävämpää ja tuo joustoa infuusioiden ajoittamiseen.
- Hoidon määrännyt terveydenhuollon ammattilainen päättää Aldurazyme-infuusiohoidon siirtämisestä potilaan kotona toteutettavaksi. Päätöksessä on otettava huomioon potilaan ja/tai häntä hoitavan henkilön toiveet sekä potilaan terveydentila.
- Kotona tapahtuva infuusiohoito on hoidon määränneen terveydenhuollon ammattilaisen vastuulla. Koulutusmateriaalia saa jakaa vain, jos hoidon määrännyt terveydenhuollon ammattilainen katsoo, että potilas soveltuu kotona annettavaan infuusiohoitoon.
- On hoidon määränneen terveydenhuollon ammattilaisen vastuulla varmistaa, että valmisteen antaminen tapahtuu turvallisesti. On pyrittävä välttämään lääkitysvirheiden riskejä ja minimoimaan infuusioihin liittyvien reaktioiden, etenkin yliherkkyysoireiden, riski.
- Tässä asiakirjassa esitetyt toimintatavat ovat yleisiä ohjeita. Paikallisia hoitokäytäntöjä ja kansallisia sääntöjä ja määräyksiä on noudatettava.

## 2 TIETOA ALDURAZYME-VALMISTETTA MÄÄRÄÄVILLE TERVEYDENHUOLLON AMMATTILAISILLE

### 2.A) KOTONA ANNETTAVIIN INFUSIOIHIN LIITTYVÄT YLEISET VAATIMUKSET

- Aldurazyme-infuusion antamista kotona voidaan harkita potilailla, jotka sietävät infuusiota hyvin ja joilla ei ole ilmennyt keskivaikeita tai vaikeita infuusioon liittyviä reaktioita viimeksi kuluneiden kuukausien aikana. Päätös potilaan siirtämisestä kotona tapahtuvaan infuusihoitoon on tehtävä hoitavan terveydenhuollon ammattilaisen tekemän arvioinnin jälkeen ja hänen suosituksesta.
- Kotona tapahtuvaa infuusioiden antoa varten täytyy olla infrastruktuuri, resurssit ja menettelyt, koulutus mukaan lukien, ja niiden täytyy olla terveydenhuollon ammattilaisten käytettävissä. Kotona annettavat infuusiot on toteutettava terveydenhuollon ammattilaisen valvonnassa. Terveydenhuollon ammattilaisen on oltava koko ajan tavoitettavissa kotona annettavan infuusion aikana ja tietyn ajan infuusion jälkeen. Ennen kotona annettavien infuusioiden aloittamista hoitavan terveydenhuollon ammattilaisen ja/tai infuusion antavan terveydenhuollon ammattilaisen on annettava potilaalle ja/tai tätä hoitavalle henkilölle asianmukaiset tiedot.
- Ennen kuin tehdään mitään kotona annettavan Aldurazyme<sup>®</sup>-infuusioiden aloittamiseen liittyviä järjestelyjä, hoidon määrännyt terveydenhuollon ammattilainen arvioi, täyttääkö potilas seuraavat soveltuvuusvaatimukset:
  - *Kattavan lääketieteellisen arvioinnin jälkeen potilaan tilan katsotaan olevan riittävän vakaa infuusioiden saamiseen kotona.*
  - *Kotona annettavan Aldurazyme-infuusioiden suosittelemisesta vastaa hoidon määrännyt terveydenhuollon ammattilainen.*
  - *Kun arvioidaan potilaan soveltuvuutta infuusioiden antoon kotona, potilaan perussairaudet ja kyky sitoutua kotona annettaviin infuusioihin liittyviin vaatimuksiin on otettava huomioon.*
  - *Potilaalla ei saa olla pitkälle edennyttä sairautta, joka suurentaa riskiä saada komplikaatioita, jotka edellyttävät vaativia, ainoastaan sairaalassa saatavilla olevia elvytystoimenpiteitä.*
- Potilas on sietänyt infuusiota hyvin sairaalassa tai polikliinisessä hoitoyksikössä, eikä hänellä ole ilmennyt keskivaikeita tai vaikeita infuusioon liittyviä reaktioita viimeksi kuluneiden kuukausien aikana.
  - *Kotona annettavan Aldurazyme-infuusioiden suosittelemisesta vastaa hoidon määrännyt terveydenhuollon ammattilainen.*

- *Potilaalla on riittävän toimiva laskimoyhteys tai hänelle voidaan asettaa keskuslaskimokatetri, joka mahdollistaa asianmukaisen infuusion antamisen.*
  - *Potilaan täytyy suostua ja kyetä noudattamaan kotona annettaviin infuusioihin liittyviä menettelyjä, ja potilaan kodin on sovelluttava kotona annettavan infuusioiden toteuttamiseen.*
  - *Kotona tapahtuvaa infuusioiden antoa varten täytyy olla infrastruktuuri, resurssit ja menettelyt, koulutus mukaan lukien, ja niiden täytyy olla terveydenhuollon ammattilaisten käytettävissä.*
- Kotona annettavat infuusioiden on toteutettava terveydenhuollon ammattilaisen valvonnassa. Terveydenhuollon ammattilaisen on oltava koko ajan tavoitettavissa kotona annettavan infuusion aikana ja tietyn ajan infuusion jälkeen. Ennen kotona annettavien infuusioiden aloittamista hoitavan terveydenhuollon ammattilaisen ja/tai infuusion antavan terveydenhuollon ammattilaisen on annettava potilaalle ja/tai tätä hoitavalle henkilölle asianmukaiset tiedot.
  - Annoksen ja infuusionopeuden on pysyttävä vakioina kotona annettavan infuusion aikana, eikä niitä saa muuttaa muutoin kuin hoidon määränneen terveydenhuollon ammattilaisen valvonnassa.
  - Jos potilaalla ilmenee haittavaikutuksia kotona annettavan infuusion aikana, infuusion anto on keskeytettävä välittömästi ja asianmukainen hoito on aloitettava (ks. valmisteyhteenvedon kohta 4.4). Seuraavat infuusioiden on mahdollisesti annettava sairaalassa tai asianmukaisessa polikliinisessä hoitoyksikössä, kunnes tällaisia haittavaikutuksia ei enää ilmene.

## **2.B) KOTONA ANNETTAVIIN INFUUSIOIHIN LIITTYVÄT VAATIMUKSET JA JÄRJESTELYT**

- Hoidon määrännyt terveydenhuollon ammattilainen vastaa kotona annettaviin infuusioihin liittyvistä järjestelyistä, ja infuusioiden antamiseen kotona vaaditaan hänen suosituksensa. Infuusion antava terveydenhuollon ammattilainen toteuttaa koko infuusioprosessin potilaan kotona.
- Kun ensisijaisten kriteerien perusteella on katsottu, että potilas soveltuu saamaan kotona annettavaa infuusiohoitoa, on tarkistettava, että muut vaatimukset täyttyvät. Näin varmistetaan, että Aldurazyme-infuusioiden pystytään antamaan turvallisesti, tehokkaasti ja luotettavasti potilaan kotona.
- Lähtökohtaisesti terveydenhuollon yksikkö (sairaala) tai asiasta vastaava kokenut terveydenhuollon ammattilainen antaa infuusion antavalle terveydenhuollon ammattilaiselle alkuvaiheen ohjeet ja koulutuksen paikallisten määräysten mukaisesti. Infuusion antavalta terveydenhuollon ammattilaiselta kotioloissa tarvittavan tuen

laajuudesta keskustellaan ja sovitaan hoidon määränneen terveydenhuollon ammattilaisen, potilaan ja/tai potilasta hoitavien henkilöiden kanssa.

## **2.C) POTILAAN SOVELTUVUUS**

- Potilas ja/tai häntä hoitavat henkilöt ovat saaneet hoidon määränneeltä terveydenhuollon ammattilaiselta tietoa kotona annettavasta hoidosta, siihen liittyvistä riskeistä, kuten yliherkkyysoireiden ja lääkitysvirheiden riskeistä, ja lääketieteellisen tuen saatavuudesta kotona. Potilaan ja/tai häntä hoitavien henkilöiden on hyväksyttävä hoidon antaminen kotona.
- Potilas ja/tai häntä hoitavat henkilöt ymmärtävät sairauden luonteen ja osaavat tunnistaa haittatapahtumat, kuten yliherkkyysoireet ja lääkitysvirheet, sekä ymmärtävät, miten mahdollisten haittatapahtumien ilmetessä on toimittava.
- Kodin on sovelluttava kotona annettavan infuusioidon toteuttamiseen. Tämä tarkoittaa, että saatavilla on oltava muun muassa siisti tila, jossa on sähköt, vettä, mahdollisuus puhelimen käyttöön, jääkaappi ja riittävästi tilaa Aldurazyme-valmisteen ja muiden infuusiotarvikkeiden säilytykseen.
- Potilaalle / häntä hoitavalle henkilölle on kerrottava, että infuusio on aina annettava niin, että läsnä on kokenut terveydenhuollon ammattilainen eli infuusion antava terveydenhuollon ammattilainen, jolla on riittävä koulutus siihen, miten infuusioon liittyvien reaktioiden yhteydessä toimitaan.
- Potilaan on sovelluttava sekä fyysisesti että psyykkisesti saamaan infuusiota kotona.
- Kotona annettavan Aldurazyme<sup>®</sup>-infuusioidon suosittelemisesta vastaa hoidon määrännyt terveydenhuollon ammattilainen.
- Potilaalla on laskimoyhteys tai keskuslaskimokatetri, joka mahdollistaa asianmukaisen infuusion antamisen.
- Potilaan on sitouduttava hoidon määränneen terveydenhuollon ammattilaisen edellyttämään taudin säännölliseen seurantaan.
- Potilaalle ja/tai häntä hoitavalle henkilölle on annettava potilaille / heitä hoitaville henkilöille suunnattu opas, jossa on tietoa infuusioon liittyvien reaktioiden merkeistä ja oireista ja suositelluista toimenpiteistä niiden hoitamiseksi. Lisäksi potilaalle / häntä hoitavalle henkilölle on annettava infuusiopäiväkirja, johon voidaan merkitä muistiin infuusioita koskevat tiedot sekä mahdolliset haittatapahtumat ja infuusioon liittyvät reaktiot. Näitä voivat olla muun muassa ennen infuusiota, sen aikana tai sen jälkeen ilmenneet allergiatyyppiset yliherkkyysoireet. Hoidon määränneen terveydenhuollon ammattilaisen on täytettävä joitakin yhteystietoja tähän oppaaseen. Potilaan / häntä hoitavan henkilön on täytettävä oppaaseen muut tiedot. Potilaan on säilytettävä opasta

kotonaan ja näytettävä se häntä hoitavalle terveydenhuollon ammattilaiselle säännöllisillä seurantakäynneillä.

## **2.D) ALDURAZYME-VALMISTETTA MÄÄRÄÄVÄT TERVEYDENHUOLLON AMMATTILAISET**

- Hoidon määrännyt terveydenhuollon ammattilainen vastaa kaikkien tarvittavien hallinnollisten toimien käynnistämisestä, jotta muut hoitoon osallistuvat tahot (potilas ja/tai häntä hoitavat henkilöt, infuusion antava terveydenhuollon ammattilainen ja apteekki) voivat edetä kotona tapahtuvan infuusioidon kanssa.
- Hoidon määrännyt terveydenhuollon ammattilainen on kertonut potilaalle ja/tai häntä hoitaville henkilöille sairaudesta, hoidosta ja kotona annettaviin infuusioihin liittyvistä menettelyistä, kuten on esitetty kohdassa 2.C Potilaan soveltuvuus.
- Hoidon määrännyt terveydenhuollon ammattilainen vastaa infuusionopeuden ja annoksen valinnasta. Aldurazyme-valmisteen infuusionopeutta, jota potilas on aiemmin sietänyt sairaalassa tai polikliinisessä hoitoyksikössä, ei saa muuttaa annettaessa valmistetta kotona, ellei tämä ole tarpeen turvallisuussyistä.
- Hoidon määrännyt terveydenhuollon ammattilainen on vastuussa kotona annettavasta infuusioidosta. Koulutusmateriaalia saa jakaa vain, jos hoidon määrännyt terveydenhuollon ammattilainen katsoo, että potilas soveltuu kotona annettavaan infuusiohoitoon. On hoidon määränneen terveydenhuollon ammattilaisen vastuulla varmistaa, että valmisteen antaminen potilaalle tapahtuu turvallisesti. Pyrkimyksenä on välttää lääkitysvirheiden riskejä ja minimoida infuusioihin liittyvien reaktioiden, etenkin yliherkkyysoireiden, riski. Infuusion antavan terveydenhuollon ammattilaisen on välittömästi kerrottava hoidon määränneelle terveydenhuollon ammattilaiselle, jos potilaalla ilmenee infuusioon liittyvä reaktio tai yliherkkyys.
- Hoidon määrännyt terveydenhuollon ammattilainen määrää lääkityksen, mukaan lukien kaikki tarvittavat välineet Aldurazyme<sup>®</sup>-valmisteen antamiseen kotona.
- Jos sairaalassa tai muussa asianmukaisessa polikliinisessä hoitoyksikössä annetaan infuusiota edeltävää hoitoa (esim. antihistamiineja, parasetamolia, ibuprofeenia tai kortikosteroideja), se on annettava potilaskohtaisen lääkemääräyksen mukaisesti. Tätä hoitoa ei saa muuttaa kotioloissa, ellei hoidon määrännyt terveydenhuollon ammattilainen katso sen olevan lääketieteellisesti aiheellista.
- Infuusioon liittyvien reaktioiden varalta on oltava saatavilla hätätilanteessa annettavaa hoitoa, ja sitä on annettava potilaskohtaisen lääkemääräyksen mukaisesti. Infuusion antavalle terveydenhuollon ammattilaiselle on annettava ohjeet (esim. hoitopäiväkirjassa tai vastaavassa) ja dokumentoitu hätäsuunnitelma ennen kotona annettavan infuusioidon aloittamista. Lisäksi puhallus-paineluvytyysvälineistön on oltava helposti saatavilla kotona annettavan infuusion aikana.

- Haittatapahtuman ilmetessä pyydämme hoidon määrännyttä terveydenhuollon ammattilaista ilmoittamaan siitä Sanofille. On suositeltavaa, että hoidon määrännyt terveydenhuollon ammattilainen kirjaa tapahtuman/tapahtumien kulun ja tilanteen korjaamiseksi annetun hoidon potilasasiakirjoihin, jotta päätös kotona annettavan hoidon jatkamisesta voidaan tehdä asianmukaisesti.
- Pyydämme tekemään ilmoituksen Sanofin lääketurvayksikölle sähköpostilla [Pharmacovigilance.finland@sanofi.com](mailto:Pharmacovigilance.finland@sanofi.com) tai puhelimitse 020 120 0368 tai Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimealle: [www.fimea.fi](http://www.fimea.fi), Lääkkeiden hättäväikutusrekisteri, PL 55, 00034 FIMEA
- Hoidon määränneen terveydenhuollon ammattilaisen on varmistettava, että hänellä ja infuusion antavalla terveydenhuollon ammattilaisella on nopea ja luotettava keskinäinen viestintäkeino, jotta hätätilanteisiin pystytään reagoimaan mahdollisimman nopeasti, jos välitön lääketieteellinen apu on tarpeen.
- Jos potilaalla ilmenee hättäväikutuksia, hänen on otettava välittömästi yhteyttä hoidon määränneeseen terveydenhuollon ammattilaiseen tai tämän nimeämään toiseen terveydenhuollon ammattilaiseen. Tapahtumat voivat ilmetä infuusion aikana tai vasta useiden tuntien kuluttua infuusion päättymisen jälkeen. Seuraavat infuusiot on mahdollisesti annettava sairaalassa tai muussa asianmukaisessa poliklinisessä hoitoyksikössä, kunnes tällaisia hättäväikutuksia ei enää ilmene. Päätöksen tekee hoidon määrännyt terveydenhuollon ammattilainen tai hänen nimeämänsä terveydenhuollon ammattilainen.
- Kotona annettavaa infuusiohoitoa saavan potilaan taudin säännöllinen seuranta on hoidon määränneen terveydenhuollon ammattilaisen vastuulla.
- Infuusioiden asianmukaisen aikataulun laatiminen ja seuranta ovat hoidon määränneen terveydenhuollon ammattilaisen ja infuusion antavan terveydenhuollon ammattilaisen vastuulla. Lisäksi hoidon määrännyt terveydenhuollon ammattilainen laatii infuusiiohjelman, jonka infuusion antava terveydenhuollon ammattilainen dokumentoi (esim. hoitopäiväkirjaan tai vastaavaan).
- Hoidon määräävän terveydenhuollon ammattilaisen on annettava potilaalle tai häntä hoitavalle henkilölle heille suunnattu opas. Tämän potilaille ja heitä hoitaville henkilöille suunnatun oppaan liitteenä on infuusiopäiväkirja, johon potilas voi merkitä muistiin infuusiot ja mahdolliset infuusion aikana tai sen jälkeen ilmenneet hättäväikutukset. Potilaalla ennen infuusion aloittamista ilmenneet mahdolliset hättätapahtumat (kuten päänsärky) on myös merkittävä muistiin.

## **2.E) LÄÄKKEEN MÄÄRÄÄMINEN**

- Hoidon määräävä terveydenhuollon ammattilainen määrittää Aldurazyme-annoksen, tarvittavan tilavuuden, infuusionopeuden, esilääkityksen, hätätilanteessa annettavan lääkityksen ja mahdolliset muutokset. Kaikki määräykseen tehtävät (annoksen tai



infuusionopeuden) muutokset on dokumentoitava. Lääkemääräys on kirjattava paikallisten määräysten mukaisesti.

### **3 TIETOA ALDURAZYME®-VALMISTEEN ANTAMISESTA**

Laimennusta ja antoa koskevat ohjeet ovat Aldurazyme-valmisteen valmisteyhteenvedossa.<sup>1</sup> Tässä osiossa on yksityiskohtainen kuvaus.

- Apteekki- ja kaikki tarvittavat infuusiovälineet toimitetaan paikallisten järjestelyjen ja määräysten mukaisesti.

#### **3.A) INFUUSION ANTAVA TERVEYDENHUOLLON AMMATTILAINEN**

- Infuusion antava terveydenhuollon ammattilainen koordinoi toimintaa hoidon määränneen terveydenhuollon ammattilaisen ja potilaan ja/tai häntä hoitavien henkilöiden suuntaan kotona annettavan hoidon järjestämiseksi. Hän selvittää hoidon määränneen terveydenhuollon ammattilaisen, potilaan ja/tai potilasta hoitavien henkilöiden kanssa, miten paljon tukea kotona tarvitaan.
- Infuusion antavalla terveydenhuollon ammattilaisella on pätevyys laskimoinfuusioiden antamiseen, ja hän on saanut asianmukaisen koulutuksen MPS I -taudista ja Aldurazyme-valmisteen antamisesta. Lisäksi hänet on koulutettu tunnistamaan todennäköisimmät haittatapahtumat (mukaan lukien vakavat haittatapahtumat, kuten anafylaktiset reaktiot), ja hänelle on opetettu, mihin toimenpiteisiin on ryhdyttävä haittatapahtumien hoitamiseksi.
- Ennen infuusiota infuusion antava terveydenhuollon ammattilainen tutkii potilaan ja arvioi tämän yleisen voinnin tarkastaakseen, ettei potilaalla ole sairautta, joka voisi vaikuttaa infuusioon. Kaikki poikkeavat havainnot on kirjattava infuusiopäiväkirjaan. Jos potilaalla on akuutti sairaus, on konsultoitava hoidon määrännyttä terveydenhuollon ammattilaista ennen infuusion aloittamista.
- Infuusion antava terveydenhuollon ammattilainen noudattaa tarkasti Aldurazyme-valmisteen valmisteluun ja antamiseen liittyviä toimintaohjeita ja valvoo infuusiota siten kuin hoidon määrännyt terveydenhuollon ammattilainen on ohjeistanut. Infuusion antava terveydenhuollon ammattilainen varmistaa, että saatavilla on potilaalle määrätty esilääkitys sekä hätätilanteessa tarvittavat lääkkeet ja välineet.
- Infuusion antava terveydenhuollon ammattilainen ei muuta hoidon määränneen terveydenhuollon ammattilaisen ohjeistamaa Aldurazyme®-annosta eikä infuusion ohjelmaa (infuusionopeutta, infuusion kestoa tai infuusion vaiheita), ellei tämä ole tarpeen turvallisuussyistä.

- Infuusion antava terveydenhuollon ammattilainen dokumentoi jokaisen Aldurazyme®-infuusion hoitopäiväkirjaan tai vastaavaan ja toimittaa nämä kirjaukset hoidon määränneelle terveydenhuollon ammattilaiselle säännöllisin väliajoin, kuten hoidon määränneen terveydenhuollon ammattilaisen kanssa on sovittu.
- Infuusioiden asianmukaisen aikataulun laatiminen ja seuranta ovat hoidon määränneen terveydenhuollon ammattilaisen ja infuusion antavan terveydenhuollon ammattilaisen vastuulla, ja niistä sovitaan potilaan tai häntä hoitavan henkilön kanssa.
- Jos infuusion aikana tai sen jälkeen ilmenee haittatapahtuma, kuten yliherkkyysreaktio, kotona annettavien infuusioiden yhteydessä tapahtuva lääkitysvirhe tai infuusioon liittyvä reaktio, terveydenhuollon ammattilaisen on ryhdyttävä potilaskohtaisiin hätätoimenpiteisiin, jotka hoidon määrännyt terveydenhuollon ammattilainen on kirjannut hätäsuunnitelmaan. Toimenpiteisiin voi sisältyä infuusionopeuden hidastaminen tai infuusion annon lopettaminen tilapäisesti tai kokonaan.
- Jos potilaalla ilmenee haittatapahtuma, infuusion antava terveydenhuollon ammattilainen ottaa välittömästi yhteyttä hoidon määränneeseen terveydenhuollon ammattilaiseen ja/tai soittaa yleiseen hätänumeroon 112. Pyydämme infuusion antavaa terveydenhuollon ammattilaista dokumentoimaan haittatapahtuman hoitopäiväkirjaan tai vastaavaan ja ilmoittamaan haittatapahtumista (kotona annettavien infuusioiden yhteydessä tapahtuvat lääkitysvirheet mukaan lukien) viipymättä ja tarkasti Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimealle ja Sanofille.

### **3.B) VAADITTAVAT TARVIKKEET**

Yleensä sairaala tai apteekki toimittaa potilaalle tai kolmannelle osapuolelle seuraavat tarvikkeet asianmukaisen määräyksen mukaisesti:

- Aldurazyme-valmistetta sisältävät injektiopullot (500 U per injektiopullo – 5 ml per injektiopullo, 100 U/ml); nämä on säilytettävä siistissä jääkaapissa, jonka lämpötila on +2 – +8 °C
- 0,9-prosenttinen keittosuolaliuos laskimoon antoa varten; 100 ml:n pussit, jos potilas painaa enintään 20 kg, tai 250 ml:n pussit, jos potilas painaa yli 20 kg
- keittosuolaliuos infuusiolinjan huuhtelemiseen infuusion jälkeen
- klooriheksidiiniliuos (0,5 % klooriheksidiiniä 70-prosenttisessä alkoholissa; antiseptinen liuos)
- asianmukainen määrä 10 ml:n, 20 ml:n ja 50 ml:n ruiskuja Aldurazyme-annoksen mukaan
- steriilejä injektioneuloja (20G tai 21G); oletuksena on, että neljää injektiopulloa varten tarvitaan 2 neulaa
- niukasti proteiinia sitova 0,2 µm in-line-suodatin

- ääreislaskimoyhteyden asettamista tai keskuslaskimoyhteyden ylläpitämistä varten tarvittavat tarvikkeet paikallisten ohjeiden mukaisesti
- laskimoinfuusiota varten tarvittavat tarvikkeet paikallisten ohjeiden mukaisesti sekä materiaalit, joita tarvitaan hygieniaa, aseptiikkaa ja jätteiden hävittämistä koskevien määräysten noudattamiseen paikallisten ohjeiden mukaisesti
- esilääkitys (tarvittaessa)
- paikallisen hoitokäytännön mukainen hätätilanteessa annettava lääkitys.

### 3.C) VALMISTELU

HUOMAUTUS: Käyttöohjeet (laimentaminen ja anto) on esitetty Aldurazyme-valmisteen valmisteyhteenvedossa.<sup>1</sup> Tässä osiossa on yksityiskohtainen kuvaus.

Ennen Aldurazyme-infuusion valmistelun aloittamista infuusion antavan terveydenhuollon ammattilaisen on arvioitava potilaan terveydentila, mukaan lukien peruselintoiminnot ja kuumeen tai infektion oireet. Infuusioon liittyvien reaktioiden riski vaikuttaa olevan suurentunut potilailla, joilla on Aldurazyme<sup>®</sup>-infuusion aikana akuutti muu sairaus, kuten hengitystieinfektio, joka saattaa aiheuttaa hengitysvaikeuksia. Tällaisissa tapauksissa infuusiota ei saa antaa, ja hoitoa jatketaan hoidon määränneen terveydenhuollon ammattilaisen harkinnan mukaan sen jälkeen, kun potilas on täysin toipunut.

Ennen infuusion valmistelua on myös suositeltavaa paikallisten käytäntöjen mukaisesti asettaa laskimoyhteys (ääreislaskimokanyyli) tai yhdistää potilaan keskuslaskimoyhteys. Näin Aldurazyme voidaan varmasti antaa välittömästi sen valmistelun jälkeen.

Infuusion antava terveydenhuollon ammattilainen varmistaa, että injektiopullot ovat lämmenneet huoneenlämpöön ennen infuusionesteen valmistusta. Injektiopullojen voi antaa lämmetä laskimoyhteyden asettamisen aikana. Kun injektiopullot on otettu jääkaapista, niiden annetaan lämmetä huoneenlämpöön noin 30 minuutin aikana.

- Tarkista, että injektiopulloja on oikea määrä potilaan painoon nähden.
- Koska yksi injektiopullo sisältää 5 ml liuosta ja 1 ml liuosta sisältää 100 U, valmisteyhteenvedon mukaista annostusta 100 U/kg/viikko vastaava annos potilaalle on 1 ml/kg.<sup>1</sup>
- Koska tässä potilaspopulaatiossa esiintyy usein painon vaihtelua, on erittäin suositeltavaa, että potilas on punnittu edellisten 6 kuukauden aikana tai alle 6-vuotiaiden lasten tapauksessa edellisten 3 kuukauden aikana.
- Tarkasta injektiopullopakkaus pohjaan painettu viimeinen käyttöpäivämäärä (älä käytä Aldurazyme-valmistetta pakkaukseen merkityn viimeisen käyttöpäivämäärän jälkeen).
- Tarkasta, että injektiopullojen sisältämä liuos on kirkasta ja ettei siinä ole hiukkasia. Liuoksen on oltava läpinäkyvää.

- Injektiopulloja ei saa ravistaa.

### 3.D) LAIMENTAMINEN

Aldurazyme-liuos on laimennettava 0,9-prosenttisella keittosuolaliuoksella.

Kun on laskettu, kuinka monta injektiopulloa infuusiota varten tarvitaan, ja injektiopullot ovat lämmenneet huoneenlämpöön, infuusioliuoksen valmistelu on aloitettava heti.

Ennen laimennusta jokainen injektiopullo on tarkastettava silmämääräisesti hiukkasten tai värjäytymisen varalta. Liuoksessa, joka on kirkas tai hieman samea ja väritön tai kellertävä, ei tulisi olla näkyviä hiukkasia. Injektiopulloja, joissa on hiukkasia tai värjäytyksiä, ei saa käyttää. Tietoa tämän vaiheen suorittamisesta on saatavilla myös Aldurazyme-valmisteen valmisteyhteenvedossa.

- Desinfioi yhden 0,9-prosenttista keittosuolaliuosta sisältävän pussin korkki/pussinsuu klooriheksidiinillä ja anna sen kuivua.
- Työnnä neula infuusiopussin korkin läpi ja vedä pussista 0,9-prosenttista keittosuolaliuosta tilavuus, joka vastaa pussiin lisättävän Aldurazyme-liuoksen tilavuutta.
- Aldurazyme-liuos lisätään hitaasti suoraan 0,9-prosenttiseen keittosuolaliuokseen. Infuusiopussissa olevan valmisteen vaahtoamista on vältettävä, eikä infuusiopussia saa ravistaa. Ilman pääsyä infuusiopussiin on vältettävä.
- Tilavuuden sovittaminen painon mukaan:

Jos potilas painaa enintään 20 kg, valmistellun infuusioliuoksen kokonaistilavuuden on oltava 100 ml.

- *Esimerkki: potilas painaa 15 kg.*
  - *1 ml Aldurazyme-valmistetta sisältää 100 U ja Aldurazyme-valmisteen annostus on 100 U/kg/viikko, eli valmistetta annetaan 1 ml/kg/viikko. Tälle potilaalle tarvitaan siis 15 ml Aldurazyme-valmistetta. Yksi Aldurazyme-injektiopullo sisältää 5 ml valmistetta. Tämä potilas tarvitsee 3 injektiopulloa. Annettavan Aldurazyme-valmisteen kokonaistilavuus on 15 ml. Aldurazyme on yhdistettävä 0,9-prosenttiseen keittosuolaliuokseen siten, että infuusioliuoksen kokonaistilavuudeksi tulee 100 ml.*
  - *1 ml Aldurazyme-valmistetta x potilaan paino (kg) / 5 eli tässä esimerkissä  $1 \times 15 / 5 = 3$  injektiopulloa;  $100 \text{ ml} - 15 \text{ ml Aldurazyme-valmistetta} = 85 \text{ ml}$  0,9-prosenttista keittosuolaliuosta, jolloin kokonaistilavuudeksi saadaan 100 ml.*
- *Jos potilas painaa yli 20 kg, infuusioliuoksen kokonaistilavuuden on oltava 250 ml.*

- *Esimerkki: potilas painaa 35 kg.*
  - *1 ml Aldurazyme-valmistetta sisältää 100 U ja Aldurazyme-valmisteen annostus on 100 U/kg/viikko, eli valmistetta annetaan 1 ml/kg/viikko. Tälle potilaalle tarvitaan siis 35 ml Aldurazyme-valmistetta. Yksi Aldurazyme-injektiopullo sisältää 5 ml valmistetta, joten tarvitset 7 injektiopulloa. Aldurazyme on yhdistettävä 0,9-prosenttiseen keittosuolaliuokseen siten, että infuusioliuoksen kokonaistilavuudeksi tulee 250 ml.*
  - *1 ml Aldurazyme-valmistetta x potilaan paino (kg) / 5 eli tässä esimerkissä  $1 \times 35 / 5 = 7$  injektiopulloa;  $250 \text{ ml} - 35 \text{ ml Aldurazyme-valmistetta} = 215 \text{ ml}$  0,9-prosenttista keittosuolaliuosta, jolloin kokonaistilavuudeksi saadaan 250 ml.*
- *Sekoita infuusiopussissa oleva liuos varovasti kääntelemällä tai puristelemalla infuusiopussia. Injektiopulloja ei saa ravistaa, sillä tällainen äkillinen liike voi denaturoida (hajottaa) entsyymien, jolloin sen teho menetetään.*
- *Infuusioliuoksen kokonaistilavuus määräytyy potilaan painon perusteella, ja infuusio on annettava noin 3–4 tunnin aikana.*

\*Mikrobiologisesta turvallisuuskulmasta katsoen valmiste tulisi käyttää välittömästi. Jos sitä ei käytetä välittömästi ja mikäli laimennus on suoritettu kontrolloiduissa ja hyväksytyissä aseptisissä olosuhteissa, säilytyksen ei tulisi ylittää 24:tuntia 2 °C – 8 °C:ssa.

### **3.E) LÄÄKEVALMISTEEN ANTAMINEN**

- Kun Aldurazyme on laimennettu, yhdistä letku infuusiopussiin.
- Yhdistä niukasti proteiinia sitova 0,2 µm in-line-suodatin infuusiopussiin.
  - Näin potilaalle ei anneta hiukkasia, joita on saattanut tahattomasti muodostua laskimoon annettavan annoksen valmistelun aikana.
- Anna painovoiman täyttää infuusiolinja laimennetulla Aldurazyme-valmisteella ja yhdistä infuusiolinja potilaan laskimoyhteyteen.
- Ennen infuusion aloittamista tarkasta potilaan syke, verenpaine, hengitystiheys ja ruumiinlämpö.
- Ota huomioon, että Aldurazyme-infuusion antonopeutta on suurennettava asteittain. Infuusio aloitetaan pienellä nopeudella, ja nopeutta suurennetaan 15 minuutin välein ensimmäisen tunnin ajan. Tämän jälkeen jatketaan lopullisella nopeudella, kunnes 3 tuntia on kulunut. Peruselintoiminnot on tarkastettava ennen jokaista nopeuden suurentamista.
  - Taulukossa 1 on esitetty infuusionopeuden asteittainen suurentaminen, kun ALDURAZYME® annetaan 100 ml:n infuusiona (potilaille, jotka painavat enintään 20 kg).

- Taulukossa 2 on esitetty infuusionopeuden asteittainen suurentaminen, kun ALDURAZYME® annetaan 250 ml:n infuusiona (potilaille, jotka painavat yli 20 kg).

**Taulukko 1. Infuusionopeuden asteittainen suurentaminen, kun ALDURAZYME® annetaan 100 ml:n infuusiona (potilaille, jotka painavat enintään 20 kg)**

Infuusionopeus	Ehdot infuusionopeuden suurentamiselle
2 ml/h 15 minuutin ajan	Tarkasta peruselintoiminnot. Jos ne ovat vakaat, suurena nopeutta seuraavalle tasolle.
4 ml/h 15 minuutin ajan	Tarkasta peruselintoiminnot. Jos ne ovat vakaat, suurena nopeutta seuraavalle tasolle.
8 ml/h 15 minuutin ajan	Tarkasta peruselintoiminnot. Jos ne ovat vakaat, suurena nopeutta seuraavalle tasolle.
16 ml/h 15 minuutin ajan	Tarkasta peruselintoiminnot. Jos ne ovat vakaat, suurena nopeutta seuraavalle tasolle.
32 ml/h noin 3 tunnin ajan	Infuusion päättymiseen asti

**Taulukko 2. Infuusionopeuden asteittainen suurentaminen, kun ALDURAZYME® annetaan 250 ml:n infuusiona (potilaille, jotka painavat yli 20 kg)**

Infuusionopeus	Ehdot infuusionopeuden suurentamiselle
5 ml/h 15 minuutin ajan	Tarkasta peruselintoiminnot. Jos ne ovat vakaat, suurena nopeutta seuraavalle tasolle.
10 ml/h 15 minuutin ajan	Tarkasta peruselintoiminnot. Jos ne ovat vakaat, suurena nopeutta seuraavalle tasolle.
20 ml/h 15 minuutin ajan	Tarkasta peruselintoiminnot. Jos ne ovat vakaat, suurena nopeutta seuraavalle tasolle.
40 ml/h 15 minuutin ajan	Tarkasta peruselintoiminnot. Jos ne ovat vakaat, suurena nopeutta seuraavalle tasolle.
80 ml/h noin 3 tunnin ajan	Infuusion päättymiseen asti

- Kun infuusio on päättynyt, laskimolinja on huuhdeltava 0,9-prosenttisella keittosuolaliuksella käyttäen viimeistä infuusionopeutta. Laskimolinjaa ei saa huuhdella nopeasti, koska se voi suurentaa yliherkkyyksireaktion riskiä. Tämän jälkeen laskimoyhteys voidaan sulkea. Esimerkki: Tavanomaisen linjan tilavuus on 20 ml, joten infuusionopeudella 32 ml/h (enintään 20 kg) huuhtelevinen kestää 38 minuuttia ja

lopullisella infuusionopeudella 80 ml/h (yli 20 kg) 15 minuuttia. Huuhteluun ei saa käyttää suurempaa nopeutta eikä sitä saa tehdä bolusinjektiolla.

- Aldurazyme-infuusion antoon ei saa käyttää samaa laskimoyhteyttä kuin muiden valmisteiden antoon.

Hoidon määräävä terveydenhuollon ammattilainen määrittää Aldurazyme-annoksen, infuusionopeuden ja mahdolliset muutokset. Hoitoa ei saa muuttaa kotioloissa, ellei hoidon määrännyt terveydenhuollon ammattilainen katso sen olevan lääketieteellisesti aiheellista. Infuusio ja mahdolliset havainnot on dokumentoitava hoitopäiväkirjaan tai vastaavaan.

## **4 TIETOA ALDURAZYME®-VALMISTETTA MÄÄRÄÄVILLE TERVEYDENHUOLLON AMMATILAISILLE JA ALDURAZYME®-VALMISTETTA ANTAVILLE TERVEYDENHUOLLON AMMATILAISILLE**

### **4.A) ALDURAZYME-VALMISTETTA MÄÄRÄÄVÄ TERVEYDENHUOLLON AMMATILAINEN**

Hoidon määräävä terveydenhuollon ammattilainen vastaa kaikkien tarvittavien hallinnollisten toimien käynnistämisestä, jotta muilla asianosaisilla (esim. potilaalla ja/tai häntä hoitavilla henkilöillä, infuusion antavalla terveydenhuollon ammattilaisella, kotisairaanhoidolla tai apteekilla) on valtuudet ryhtyä toimiin ja keskustella potilaan ja/tai häntä hoitavan henkilön kanssa kotioloissa tarvittavan tuen laajuudesta.

### **4.B) ALDURAZYME®-VALMISTEEN TURVALLISUUSTIEDOT**

*Ks. valmisteyhteenvedon kohta 4*

#### i) Haittavaikutusten tunnistaminen

Yleisimmin ilmoitettuja haittavaikutuksia ovat infuusioon liittyvät reaktiot riippumatta siitä, annetaanko valmiste sairaalassa vai muussa asianmukaisessa polikliinisessä hoitoyksikössä.

Infuusioon liittyvä reaktio on määritelmän mukaan mikä tahansa haittatapahtuma, joka ilmenee infuusion aikana tai joidenkin tuntien kuluessa infuusion jälkeen ja jolla arvioidaan olevan mahdollinen syy-yhteys valmisteeseen (Aldurazyme-valmisteeseen) antoon. Myös pidemmän ajan kuluttua infuusiosta ilmenevien, samankaltaisten tapahtumien voidaan ilmoittajan harkinnan mukaan katsoa olevan infuusioon liittyviä reaktioita.

Infuusioon liittyviä reaktioita voi ilmaantua milloin tahansa infuusion aikana ja/tai muutaman tunnin kuluessa infuusion jälkeen, ja ne ovat todennäköisempiä, kun käytetään suuria infuusionopeuksia.

Aldurazyme®-valmistetta saaneilla potilailla on ilmoitettu myös yliherkkyysoireita, anafylaksia mukaan lukien.

Yhteenvedo turvallisuusprofiilista

Suurin osa Aldurazymen haittavaikutuksista luokiteltiin kliinisissä tutkimuksissa infuusioon liittyviksi reaktioiksi, joita havaittiin 53 prosentilla potilaista III-vaiheen tutkimuksessa (hoidettu enintään 4 vuoden ajan) ja alle 5-vuotiailla tehdyssä tutkimuksessa 35 prosentilla potilaista (hoidettu enintään yksi vuosi). Osa haittavaikutuksista oli vaikeita. Ajan kuluessa näiden reaktioiden määrä väheni. Yleisimmät haittavaikutukset olivat päänsärky, pahoinvointi, vatsakipu, ihottuma, nivelkipu, selkäkipu, raajakipu, punoitus, kuume, infuusiokohdan reaktiot,



kohonnut verenpaine, happisaturaation väheneminen, takykardia ja vilunväristykset. Markkinoilletulon jälkeisessä seurannassa infuusioon liittyviä reaktioita olivat syanoosi, hypoksia, takypnea, kuume, oksentelu, vilunväristykset ja eryteema. Osa näistä reaktioista oli vaikeita.

Haittavaikutustaulukko:

Aldurazymen aiheuttamia haittavaikutuksia raportoitiin ilmenneen III-vaiheen tutkimuksessa ja sen jatko-osassa kaikkiaan 45:llä vähintään 5-vuotiaalla potilaalla, jotka saivat hoitoa enintään 4 vuoden ajan. Nämä haittavaikutukset on lueteltu alla käyttämällä esiintymistiheyteen perustuvia luokkia: hyvin yleinen ( $\geq 1/10$ ); yleinen ( $\geq 1/100$ ,  $< 1/10$ ), melko harvinainen ( $\geq 1 / 1\ 000$ ,  $< 1/100$ ), harvinainen ( $\geq 1 / 10\ 000$ ,  $< 1 / 1\ 000$ ), hyvin harvinainen ( $< 1 / 10\ 000$ ) ja tuntematon (koska saatavissa oleva tieto ei riitä esiintyvyyden arviointiin). Potilaiden vähäisestä määrästä johtuu, että yhdellä potilaalla esiintynyt haittavaikutus on luokiteltu yleiseksi.

**Taulukko 3. Infuusioon liittyvien reaktioiden, yliherkkyysoireiden ja anafylaktisten reaktioiden havaitut oireet ja löydökset**

MedDRA:n elinjärjestelmäluokka	Hyvin yleinen	Yleinen	Tuntematon
Immuunijärjestelmä		anafylaktinen reaktio	
Psyykkiset häiriöt		levottomuus	
Hermosto	päänsärky	harhatuntemukset, heitehuimaus	
Sydän		takykardia	
Verisuonisto	ihon punoitus	hypotensio, kalpeus, raajoissa tuntuva kylmyys	
Hengityselimet, rintakehä ja välikarsina		hengitysvaikeudet, hengenahdistus, yskä	syanoosi, hypoksia, takypnea, bronkospasmi, hengityspysähdys
Ruoansulatuselimistö	pahoinvointi, vatsakipu	oksentelu, ripuli	
Iho ja ihonalainen kudος	ihottuma	angioedeema, kasvojen turvotus, urtikaria, kutina, kylmänhikisyys, hiustenlähtö, voimakas hikoilu	eryteema, kasvojen edeema, kurkunpään turvotus, perifeerinen turvotus

MedDRA:n elinjärjestelmäluokka	Hyvin yleinen	Yleinen	Tuntematon
Luusto, lihakset ja sidekudos	nivelsairaus, nivelkipu, selkäkipu, raajakipu	tuki- ja liikuntaelimestön kipu	
Yleisoireet ja antopaikassa todettavat häität	kuume, infuusiokohdan reaktiot	vilunväristykset, kuumuuden tunne, kylmyyden tunne, väsymys, influenssan kaltainen oireilu	ekstravasaatio
Tutkimukset		kohonnut ruumiinlämpö, happisaturaation väheneminen	

- Infuusioon liittyvien reaktioiden ennaltaehkäisemiseksi tai vähentämiseksi voidaan antaa antihistamiineja, kuumelääkkeitä ja/tai kortikosteroideja. Esilääkityksen saamisen jälkeenkin potilailla saattaa kuitenkin ilmetä infuusioon liittyviä reaktioita.
- Infuusioon liittyvien reaktioiden riski vaikuttaa olevan suurentunut potilailla, joilla on akuutti muu sairaus Aldurazyme-infuusion aikana.
- Pitkälle edennyttä MPS I -tautia sairastavien potilaiden sydämen ja hengityselinten toiminta saattaa olla heikentynyt. Tämän vuoksi infuusioon liittyvien reaktioiden vaikeiden komplikaatioiden riski saattaa olla heillä suurentunut.
- Hoidon määränneen terveydenhuollon ammattilaisen määrittämiin asianmukaisiin kiireellisiin tukitoimiin ja seurantaan on varauduttava potilaan yksilöllisen hätäsuunnitelman mukaisesti.
- Infuusionopeutta saattaa olla tarpeen pienentää infuusioon liittyvien reaktioiden saamiseksi hallintaan.
- Potilaita on lisäksi tarkkailtava hoidon määränneen terveydenhuollon ammattilaisen määrittämä aika infuusion jälkeen.

#### ii) Haittavaikutusten kliininen hoito

Suurin osa infuusioon liittyvistä reaktioista ja yliherkkyysoireista oli lieviä tai keskivaikeita ja ne voitiin hoitaa tavanomaisin kliinisin keinoin (ks. Aldurazyme-valmisteen valmisteyhteenvedon kohdat 4.4 ja 4.8).

Hoidon määränneen terveydenhuollon ammattilaisen määrittämiin asianmukaisiin kiireellisiin tukitoimiin ja seurantaan on varauduttava potilaan yksilöllisen hätäsuunnitelman mukaisesti.

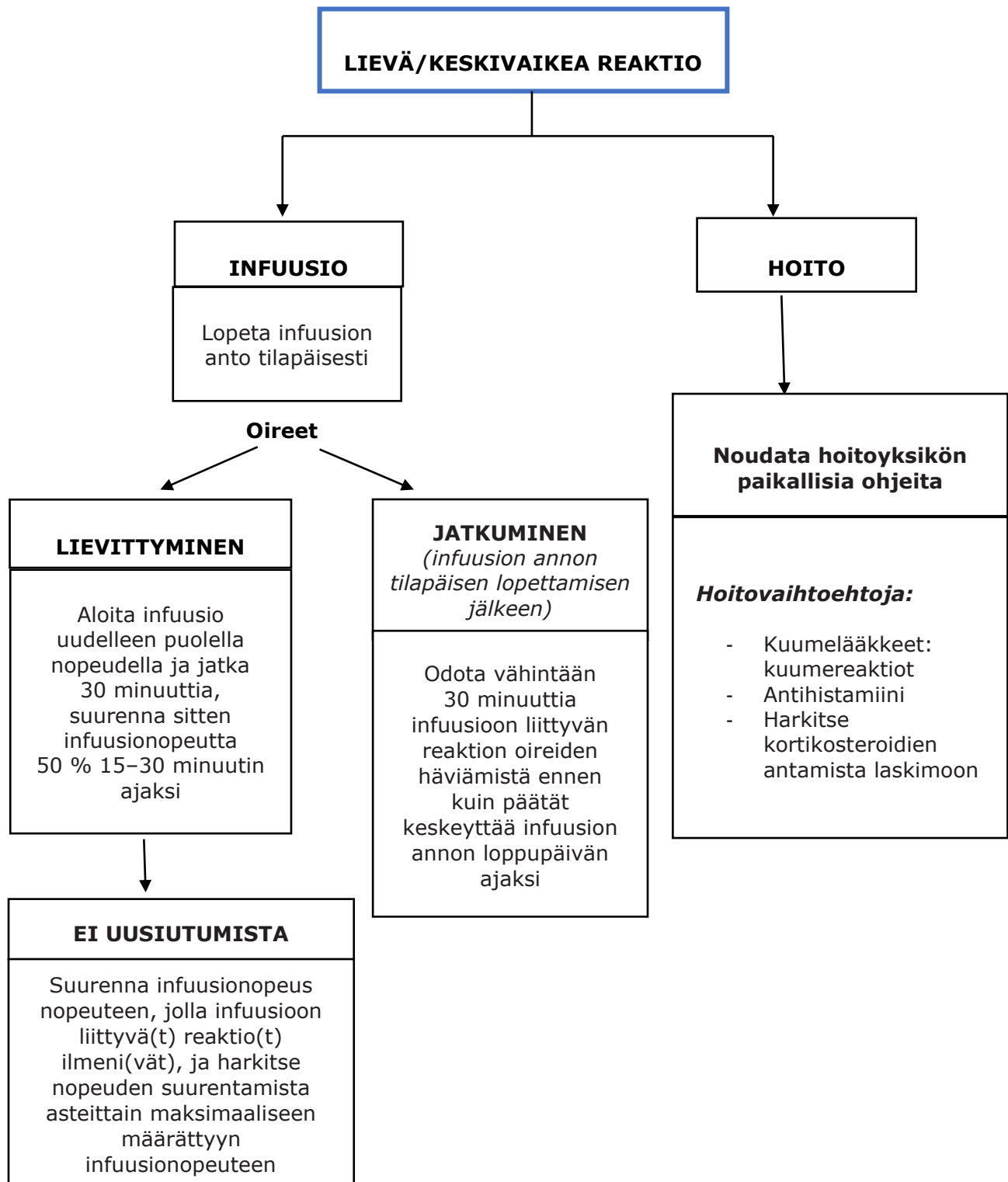
Jos potilaalla ilmenee infuusioon liittyvä reaktio (mukaan lukien yliherkkyysreaktiot ja anafylaktiset reaktiot) kotona annettavan infuusion aikana, infuusion anto on keskeytettävä välittömästi, mutta laskimoyhteyttä ei pidä sulkea.

Yksilöllisessä hätäsuunnitelmassa kuvattuihin toimenpiteisiin on ryhdyttävä infuusioon liittyvän reaktion vaikeusasteen mukaan (eli infuusion anto on lopetettava tilapäisesti tai kokonaan), ja asianmukainen hoito on aloitettava tarvittaessa. Katso esimerkkejä lievien/keskivaikeiden tai vaikeiden haittatapahtumien kliinisestä hoidosta kuvasta 1 ja kuvasta 2.

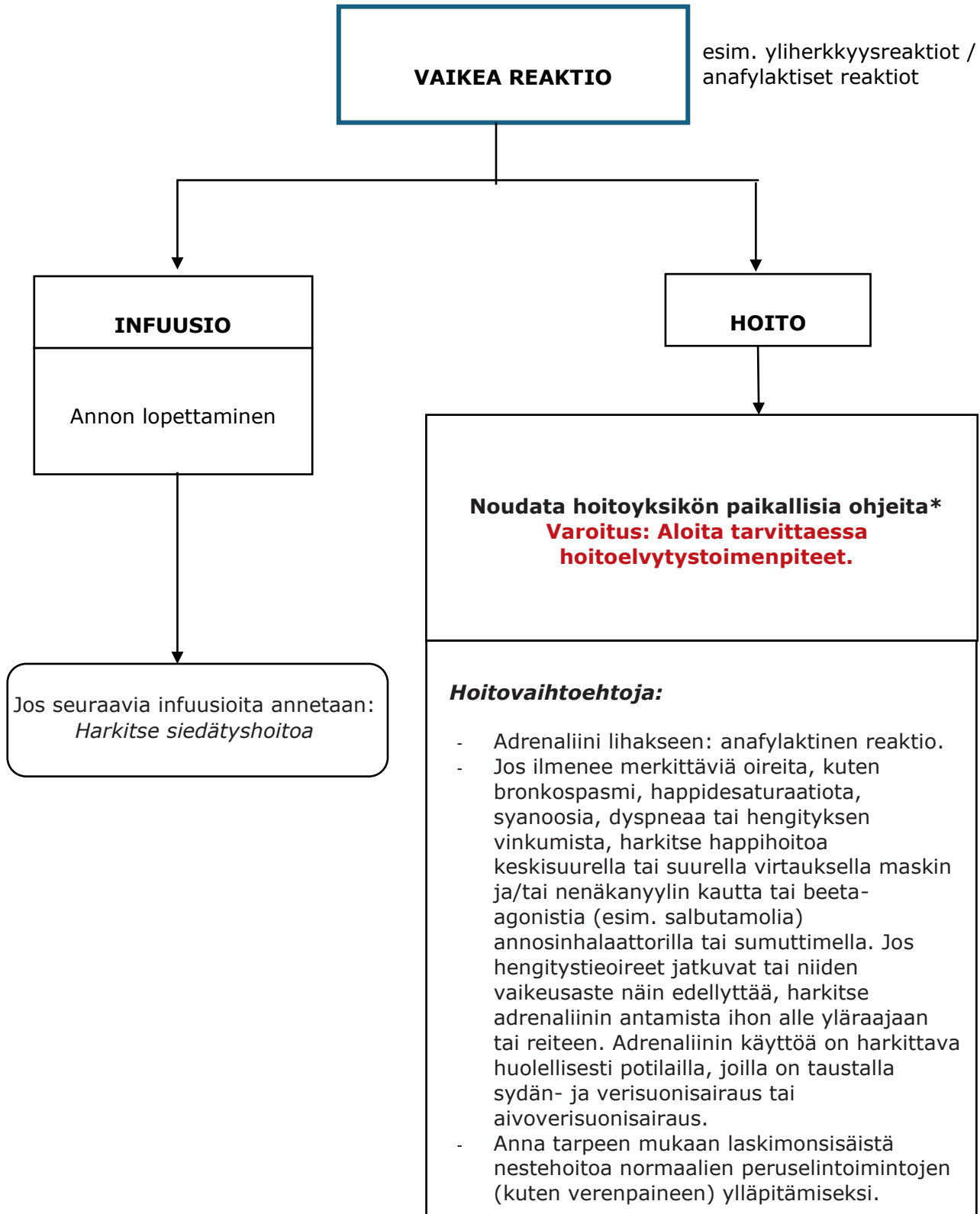
Seuraavat infuusiot on mahdollisesti annettava sairaalassa tai asianmukaisessa polikliinisessä hoitoyksikössä, kunnes tällaisia haittavaikutuksia ei enää ilmene. Potilasta hoitava terveydenhuollon ammattilainen määrittää, voidaanko kotona annettaviin infuusioihin palata.

Seuraavissa infuusioissa ei saa muuttaa annosta eikä infuusionopeutta konsultoimatta hoidon määrännytä terveydenhuollon ammattilaista.

Kuva 1: Lievien tai keskivaikeiden reaktioiden kliininen hoito



Kuva 2: Vaikeiden reaktioiden kliininen hoito



\*Vasta-aiheita on aina harkittava ottaen huomioon adrenaliinin käytön hyöty tai tarve hengen pelastavana toimenpiteenä hengenvaarallisten anafylaktisten reaktioiden yhteydessä.

## 4.C) TURVALLISUUSRAPORTOINTI

Haittatapahtuma on määritelmän mukaan mikä tahansa fyysinen, psyykinen tai käyttäytymiseen liittyvä oire tai merkki, joka todetaan lääkevalmistetta saaneella potilaalla ja joka saattaa olla, mutta ei välttämättä ole, meneillään olevan hoidon aiheuttama.

Tapahtumat voivat olla vakavia tai ei-vakavia, ja niiden vakavuuden arvioi ilmoittaja tai lääketurvatiimi.

Vakavaan haittatapahtumaan liittyy määritelmän mukaan vähintään yksi seuraavista lopputuloksista tai piirteistä:

- johtaa kuolemaan
- on hengenvaarallinen (mikä tahansa tapahtuma, jonka yhteydessä potilas on ollut hengenvaarassa tapahtumahetkellä; ei tarkoita tapahtumaa, joka olisi vaikeammassa muodossa voinut hypoteettisesti johtaa kuolemaan)
- johtaa sairaalahoitoon tai sairaalahoidon pitkittymiseen
- johtaa pysyvään tai merkittävään invaliditeettiin tai toimintakyvyttömyyteen (mikä tahansa haittatapahtuma, joka on häirinnyt merkittävästi henkilön kykyä suoriutua normaalielämään kuuluvista toiminnoista)
- on synnynnäinen epämuodostuma/syntymävaurio
- on lääketieteellisesti merkittävä tapahtuma (mikä tahansa tapahtuma, joka asianmukaisen lääketieteellisen arvioinnin mukaan saattaa vaarantaa potilaan ja saattaa edellyttää lääketieteellistä tai kirurgista hoitoa jonkin edellä luetellun lopputuloksen välttämiseksi).

Pyydämme ilmoittamaan kaikista haittatapahtumista Sanofin lääketurvayksikölle sähköpostilla [Pharmacovigilance.finland@sanofi.com](mailto:Pharmacovigilance.finland@sanofi.com) tai puhelimitse 020 120 0368 tai Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimealle: [www.fimea.fi](http://www.fimea.fi), Lääkkeiden haittavaikutusrekisteri, PL 55, 00034 FIMEA.

Jos potilas huomaa, että lääkkeen valmistelussa ja/tai annossa on tapahtunut virhe, potilaan tai infuusion antavan terveydenhuollon ammattilaisen on ilmoitettava tästä hoidon määränneelle terveydenhuollon ammattilaiselle asianmukaisten toimien määrittämiseksi. Hoidon määränneen terveydenhuollon ammattilaisen on tehtävä kaikista lääkitysvirheistä ilmoitus Sanofin lääketurvayksikköön.

#### **4.D) LISÄTIETOA**

Täydelliset käyttöaihelausekkeet ja lisätietoa Aldurazyme-valmisteen myyntiluvan mukaisesta käytöstä, ks. valmisteyhteenveto. Muuta yksityiskohtaista tietoa Aldurazyme-valmisteesta on saatavilla seuraavalla verkkosivustolla: Euroopan lääkevirasto (EMA) (ks. <http://www.ema.europa.eu>).

Linkki Aldurazyme-valmisteen (suomenkieliseen) valmisteyhteenvetoon:

[https://www.ema.europa.eu/fi/documents/product-information/aldurazyme-epar-product-information\\_fi.pdf](https://www.ema.europa.eu/fi/documents/product-information/aldurazyme-epar-product-information_fi.pdf)

#### **5 VIITTEET**

1. Aldurazyme-valmisteen valmisteyhteenveto: [Aldurazyme, INN-laronidase \(europa.eu\)](#)

Sanofi Oy  
puh: 0201 200 300, [www.sanofi.fi](http://www.sanofi.fi)

Hyväksytty 8.11.2024 (Fimea)

[VV-PV-0560321]