

**KOTONA ANNETTAVAN MYOZYME®
(ALGLUKOSIDAASI ALFA) -INFUUSIOHOIDON
ALOITTAMISTA KOSKEVA OPAS
TERVEYDENHUOLLON AMMATTILAISILLE**

Jakelu osana Myozyme-valmisteen myyntilupaa.

Versio 1.0

Sisällysluettelo

1	TÄMÄN ASIAKIRJAN TARKOITUS	4
2	TIETOA MYOZYME®-VALMISTETTA MÄÄRÄÄVILLE TERVEYDENHUOLLON AMMATTILAISILLE.....	6
2.1	KOTONA ANNETTAVIIN INFUUSIOIHIN LIITTYVÄT YLEISET VAATIMUKSET	6
3	TIETOA MYOZYME®-VALMISTETTA MÄÄRÄÄVILLE TERVEYDENHUOLLON AMMATTILAISILLE JA MYOZYME®-VALMISTETTA ANTAVILLE TERVEYDENHUOLLON AMMATTILAISILLE.....	8
3.1	KOTONA ANNETTAVIIN INFUUSIOIHIN LIITTYVÄT VAATIMUKSET JA JÄRJESTELYT	8
3.2	POTILAAN SOVELTUVUUS.....	8
3.3	MYOZYME®-VALMISTETTA MÄÄRÄÄVÄT TERVEYDENHUOLLON AMMATTILAISET	10
3.4	MYOZYME®-VALMISTETTA ANTAVAT TERVEYDENHUOLLON AMMATTILAISET	13
4	TIETOA MYOZYME®-VALMISTETTA ANTAVILLE TERVEYDENHUOLLON AMMATTILAISILLE.....	16
4.1	MYOZYME®-VALMISTEEN ANTAMINEN.....	16
4.1.1	Lääkkeen määrääminen.....	16
4.1.2	Lääkkeen valmistukseen tarvittavat välineet ja infuusiovälineet	16
4.1.3	Tarvikkeet	16
4.1.4	Valmistelu	17
4.1.5	Liuottaminen.....	18
4.1.6	Laimentaminen.....	19
4.1.7	Lääkevalmisteen antaminen	20
4.2	HAITTATAPAHTUMIEN TUNNISTAMINEN JA HOITO	22
4.2.1	Haittatapahtumien tunnistaminen.....	22
4.2.2	Haittatapahtumien kliininen hoito	26
4.3	HAITTATAPAHTUMISTA ILMOITTAMINEN	29
5	LISÄTIETOA.....	30
6	VIITTEET.....	31

Tämän oppaan tarkoituksena ei ole ehdottaa eikä suositella kotona annettavaa infuusiohoitoa yksittäiselle potilaalle. Kotona tapahtuvan infuusioidon 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.

Tämä asiakirja ei korvaa turvallisuustietopakettia (Safety Information Package (SIP)), joka on terveydenhuollon ammattilaisille suunnattu opas ja jonka jakelu sisältyy riskienhallintasuunnitelmaan. Terveydenhuollon ammattilaisia on kehotettava katsomaan tästä turvallisuustietopaketista lisätietoja MYOZYME®-valmisteen antamiseen liittyvien riskien lääketieteellisestä hoidosta.

1 TÄMÄN ASIAKIRJAN TARKOITUS

Tämän asiakirjan tavoitteena on tarjota terveydenhuollon ammattilaisille neuvoja sellaisten potilaiden hoitoon, jotka saavat Myozyme[®]-valmistetta (alglukosidaasi alfaa) 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”.

Hoidon määrännyt terveydenhuollon ammattilainen päättää Myozyme[®]-infuusiohoidon siirtämisestä potilaan kotona toteutettavaksi. Päätöksessä on otettava huomioon potilaan ja/tai häntä hoitavan henkilön toiveet sekä potilaan terveydentila.

Joidenkin lysosomaalisten kertymäsairauksien hoitoon on saatavilla entsyymikorvaushoitovalmisteita. Myozyme-infuusiohoito on tarkoitettu Pompen tautia sairastaville potilaille, ja se on yleensä hyvin siedetty.¹ Mukavuussyistä ja potilaan elämänlaadun parantamiseksi entsyymikorvaushoito voidaan siirtää toteutettavaksi potilaan kotona, jos tietyt vaatimukset pystytään täyttämään.^{1,2,3,4}

Jos vaatimukset täyttyvät, potilas voi saada hoidon kotonaan, mikä tekee hoidosta miellyttävämpää ja tuo joustoa infuusioiden ajoittamiseen. Tällöin potilaiden ei tarvitse käyttää aikaa sairaalamatkoihin, ja he pystyvät käymään normaalisti koulua ja järjestämään paremmin sosiaalista elämäänsä ja työtehtäviään. Lisäksi sairaaloiden resurssien kuormitus vähenee.

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.

Hoidon määränneen terveydenhuollon ammattilaisen vastuulla on varmistaa, että valmisteiden antaminen tapahtuu turvallisesti. On pyrittävä välttämään kotona annettavien infuusioiden yhteydessä tapahtuvien lääkitysvirheiden riski ja minimoimaan infuusioihin liittyvien reaktioiden, etenkin yliherkkyysoireiden, riski. Hoidon määränneen terveydenhuollon ammattilaisen on tarkistettava ja dokumentoitava asia.

Tässä asiakirjassa esitetyt toimintatavat ovat yleisiä ohjeita. Paikallisia hoitokäytäntöjä ja kansallisia sääntöjä ja määräyksiä on noudatettava.

2 TIETOA MYOZYME®-VALMISTETTA MÄÄRÄÄVILLE TERVEYDENHUOLLON AMMATTILAISILLE

2.1 KOTONA ANNETTAVIIN INFUUSIOIHIN LIITTYVÄT YLEISET VAATIMUKSET

Ennen kuin tehdään mitään kotona annettavan Myozyme®-infuusiohoidon aloittamiseen liittyviä järjestelyjä, hoidon määrännyt terveydenhuollon ammattilainen ottaa huomioon seuraavat seikat:

- Kotona annettavan infuusion antaa terveydenhuollon ammattilainen.
- Lääketieteellisen arvioinnin jälkeen potilaan tilan katsotaan olevan riittävän vakaa infuusioiden saamiseen kotona.
- Kotona annettavan Myozyme-infuusiohoidon suosittelemisesta vastaa hoidon määrännyt terveydenhuollon ammattilainen.
- Kun arvioidaan potilaan soveltuvuutta infuusioiden antoon kotona, potilaan muut perussairaudet ja kyky sitoutua kotona annettavien infuusioiden 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 infuusiot hyvin sairaalassa tai polikliinisessä hoitoyksikössä, eikä hänellä ole ilmennyt keskivaikeita tai vaikeita infuusioon liittyviä reaktioita viimeksi kuluneiden kuukausien aikana.
- 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.

- Kotona tapahtuvaa infuusioiden antoa varten täytyy olla infrastruktuuri, resurssit ja menettelyt, koulutus mukaan lukien, ja niiden täytyy olla terveydenhuollon ammattilaisten käytettävissä.
- Infuusion antavan terveydenhuollon ammattilaisen on oltava koko ajan tavoitettavissa kotona annettavan infuusion aikana ja infuusion jälkeen ennalta määrätty aika, joka riippuu siitä, miten hyvin potilas on sietänyt hoitoa ennen kotona annettavien infuusioiden aloittamista.
- Jos potilaalla ilmenee haittavaikutuksia kotona annettavan infuusion aikana, infuusion anto on keskeytettävä välittömästi ja asianmukainen hoito on aloitettava.
- Jos potilaalla ilmenee haittavaikutuksia kotona annettavan infuusion aikana, 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.
- Annosta ja infuusionopeutta ei saa muuttaa konsultoimatta hoidon määrännyttä terveydenhuollon ammattilaista.

3 TIETOA MYOZYME®-VALMISTETTA MÄÄRÄÄVILLE TERVEYDENHUOLLON AMMATTILAISILLE JA MYOZYME®-VALMISTETTA ANTAVILLE TERVEYDENHUOLLON AMMATTILAISILLE

3.1 KOTONA ANNETTAVIIN INFUUSIOIHIN LIITTYVÄT VAATIMUKSET JA JÄRJESTELYT

Hoidon määräävä terveydenhuollon ammattilainen vastaa kotona annettaviin infuusioihin liittyvistä järjestelyistä, ja hänen on sovittava kotona annettaviin infuusioihin liittyvistä menettelyistä. Infuusion antava terveydenhuollon ammattilainen toteuttaa koko infuusioprosessin potilaan kotona.

Kun edellä mainittujen ensisijaisten kriteerien perusteella on katsottu, että potilas soveltuu saamaan kotona annettavaa infuusiohoitoa, on tarkistettava, että muut vaatimukset täyttyvät. Näin varmistetaan, että Myozyme®-infuusiot 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 hoitavan henkilön / hoitavien henkilöiden kanssa.

3.2 POTILAAN SOVELTUVUUS

- Kotona annettavan Myozyme®-infuusiohoidon suosittelemisesta vastaa hoidon määrännyt terveydenhuollon ammattilainen.
- Potilas ja/tai häntä hoitava(t) henkilö(t) on saanut / ovat saaneet hoidon määränneeltä terveydenhuollon ammattilaiselta tietoa kotona annettavasta hoidosta, siihen liittyvistä riskeistä, kuten

yliherkkyyksireaktioiden ja kotona annettavien infuusioiden yhteydessä tapahtuvien lääkitysvirheiden riskeistä, ja lääketieteellisen tuen saatavuudesta kotona. Potilaan ja/tai häntä hoitavan henkilön / hoitavien henkilöiden on hyväksyttävä hoidon antaminen kotona.

- Potilas ja/tai häntä hoitavat henkilöt ymmärtävät sairauden luonteen ja osaavat tunnistaa haittatapahtumat, kuten yliherkkyyksireaktiot ja kotona annettavien infuusioiden yhteydessä tapahtuvat lääkitysvirheet, sekä ymmärtävät, miten mahdollisten haittatapahtumien ilmetessä on toimittava.
- Kodin on sovelluttava kotona annettavan infuusiohoidon toteuttamiseen. Tämä tarkoittaa, että saatavilla on oltava muun muassa siisti tila, jossa on sähköt, vettä, mahdollisuus puhelimen käyttöön, jääkaappi ja riittävästi tilaa Myozyme[®]-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.
- Potilaalla on laskimoyhteys tai keskuslaskimokatetri, joka mahdollistaa asianmukaisen infuusion antamisen.
- Potilaan on sitouduttava hoidon määränneen terveydenhuollon ammattilaisen edellyttämään taudin säännölliseen seurantaan.
- Potilaalle on annettava potilaille / heitä hoitaville henkilöille suunnattu opas, jossa on tietoa infuusioon liittyvien reaktioiden oireista ja löydöksistä 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 määräävän terveydenhuollon ammattilaisen on täytettävä joitakin yhteystietoja tähän oppaaseen. Potilaan / häntä hoitavan henkilön on täytettävä muut tiedot tähän oppaaseen. Potilaan on säilytettävä opasta kotonaan ja näytettävä se häntä hoitavalle terveydenhuollon ammattilaiselle säännöllisillä seurantakäynneillä.

3.3 MYOZYME®-VALMISTETTA MÄÄRÄÄVÄT TERVEYDENHUOLLON AMMATTILAISET

Hoidon määrännyt terveydenhuollon ammattilainen vastaa kaikkien tarvittavien hallinnollisten toimien käynnistämisestä, jotta muut hoitoon osallistuvat tahot (potilas ja/tai häntä hoitava[t] henkilö[t], infuusion antava terveydenhuollon ammattilainen, kotisairaanhoido ja apteekki) voivat edetä asiassa. On hoidon määränneen terveydenhuollon ammattilaisen vastuulla varmistaa, että valmisteen antaminen potilaalle tapahtuu turvallisesti. Pyrkimyksenä on välttää kotona annettavien infuusioiden yhteydessä tapahtuvien lääkitysvirheiden riski ja minimoida infuusioon liittyvien reaktioiden, etenkin yliherkkyysoireiden, riski.

- Hoidon määrännyt terveydenhuollon ammattilainen on kertonut potilaalle ja/tai häntä hoitavalle henkilölle / hoitaville henkilöille sairaudesta, hoidosta ja kotona annettaviin infuusioihin liittyvistä menettelyistä, kuten on esitetty kohdassa "3.2 Potilaan soveltuvuus".
- Hoidon määrännyt terveydenhuollon ammattilainen vastaa infuusionopeuden ja annoksen valinnasta. Myozyme®-valmisteen infuusionopeutta, jota potilas on aiemmin sietänyt sairaalassa tai polikliinisessä hoitoyksikössä, ei saa muuttaa annettaessa valmistetta kotona, ellei tämä ole tarpeen esimerkiksi turvallisuussyistä.

- Hoidon määräävä terveydenhuollon ammattilainen vastaa muiden asianosaisten (esim. potilaan ja/tai häntä hoitavan henkilön / hoitavien henkilöiden, infuusion antavan terveydenhuollon ammattilaisen, kotisairaanhoidon tai apteekin) valtuuttamisesta ryhtymään toimiin ja keskustelemaan potilaan ja/tai häntä hoitavan henkilön kanssa kotioloissa tarvittavan tuen laajuudesta.
- Hoidon määrännyt terveydenhuollon ammattilainen on vastuussa kotona annettavasta infuusioidosta. Koulutusmateriaalia saa jakaa vain, jos hoidon määrännyt terveydenhuollon ammattilainen katsoo, että potilas soveltuu kotona annettavaan infuusihoitoon. Infuusion antavan terveydenhuollon ammattilaisen on välittömästi kerrottava hoidon määränneelle terveydenhuollon ammattilaiselle, jos potilaalla ilmenee infuusion liittyvä reaktio tai yliherkkyys.
- Hoidon määräävä terveydenhuollon ammattilainen määrää lääkityksen, mukaan lukien kaikki tarvittavat välineet Myozyme®-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.
- Infuusion 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-paineluelvytysvälineistön on oltava helposti saatavilla kotona annettavan infuusion aikana. Hoidon määränneen terveydenhuollon ammattilaisen on varmistettava, että infuusion antavan terveydenhuollon ammattilaisen saatavilla on nopea, luotettava viestintäkeino, jolla hän pystyy reagoimaan hätätilanteisiin mahdollisimman nopeasti, jos välitön lääketieteellinen apu on tarpeen.

- Sanofin lääketurvayksikölle pyydetään tekemään ilmoitus lähettämällä viesti osoitteeseen Pharmacovigilance.finland@sanofi.com tai soittamalla Sanofin paikalliseen yhteysnumeroon 020 120 0368. Vaihtoehtoisesti voidaan ottaa yhteyttä Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimeaan:
www.fimea.fi, Lääkkeiden haittavaikutusrekisteri, PL 55, 00034 FIMEA.
- Jos potilaalla ilmenee haittavaikutuksia, 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 polikliinisessä hoitoyksikössä, kunnes tällaisia haittavaikutuksia 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 infuusio-ohjelman, jonka infuusion antava terveydenhuollon ammattilainen dokumentoi (esim. hoitopäiväkirjaan tai vastaavaan).
- Hoidon määräävän terveydenhuollon ammattilaisen on annettava potilaalle tai häntä hoitavalle henkilölle opas, joka on suunnattu potilaille / heitä hoitaville henkilöille. Tämän oppaan liitteenä on infuusiopäiväkirja, johon potilas tai häntä hoitava henkilö voi merkitä muistiin infuusiot ja mahdolliset infuusion aikana tai sen jälkeen ilmenneet haittavaikutukset. Potilaalla ennen infuusion aloittamista ilmenneet mahdolliset haittatapahtumat (kuten päänsärky) on myös merkittävä muistiin.

3.4 MYOZYME®-VALMISTETTA ANTAVAT TERVEYDENHUOLLON AMMATTILAISET

Infuusion antava terveydenhuollon ammattilainen koordinoi toimintaa hoidon määränneen terveydenhuollon ammattilaisen ja potilaan ja/tai häntä hoitavan henkilön / hoitavien henkilöiden välillä kotona annettavan hoidon osalta. Hän selvittää hoidon määränneen terveydenhuollon ammattilaisen, potilaan ja/tai potilasta hoitavan henkilön / hoitavien henkilöiden kanssa, miten paljon tukea kotona tarvitaan.

- Infuusion antavalla terveydenhuollon ammattilaisella on pätevyys laskimoinfuusioiden antamiseen, ja hän on saanut asianmukaisen koulutuksen Pompen taudista ja Myozyme®-valmisteen antamisesta. Lisäksi hänet on koulutettu tunnistamaan todennäköisimmät infuusion liittyvät reaktiot (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 Myozyme[®]-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 Myozyme[®]-annosta eikä infuusio-ohjelmaa (infuusionopeutta, infuusion kestoja tai infuusion vaiheita), ellei tämä ole tarpeen turvallisuussyistä.
- Infuusion antava terveydenhuollon ammattilainen dokumentoi jokaisen Myozyme[®]-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 yliherkkyysoireet, kotona annettavien infuusioiden yhteydessä tapahtuva lääkitysvirhe tai infuusioon liittyvä reaktio, infuusion antavan terveydenhuollon ammattilaisen on ryhdyttävä potilaskohtaisiin hätätoimenpiteisiin, jotka hoidon määrännyt terveydenhuollon ammattilainen on kirjannut hätäsuunnitelmaan. Toimenpiteisiin voi sisältyä 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. Infuusion antava terveydenhuollon ammattilainen dokumentoi haittatapahtuman hoitopäiväkirjaan tai vastaavaan ja häntä pyydetään ilmoittamaan haittatapahtumista (kotona annettavien infuusioiden yhteydessä tapahtuvat lääkitysvirheet mukaan lukien) viipymättä ja tarkasti Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimealle ja Sanofille.

4 TIETOA MYOZYME®-VALMISTETTA ANTAVILLE TERVEYDENHUOLLON AMMATTILAISILLE

4.1 MYOZYME®-VALMISTEEN ANTAMINEN

Käyttökuntoon saattamista, laimennusta ja antoa koskevat ohjeet ovat Myozyme®-valmisteen valmisteyhteenvedossa.¹ Tässä osiossa on yksityiskohtainen kuvaus.

4.1.1 Lääkkeen määrääminen

Hoidon määräävä terveydenhuollon ammattilainen määrittää Myozyme®-annoksen, käyttökuntoon saatetun liuoksen tarvittavan tilavuuden, infuusionesteen tilavuuden, infuusionopeuden, esilääkityksen, hätätilanteessa annettavan lääkityksen ja mahdolliset muutokset. Kaikki määräykseen tehtävät (annoksen tai infuusionopeuden) muutokset on dokumentoitava.

Koska Myozyme®-annos määräytyy painon mukaan, on tärkeää punnita potilas säännöllisesti oikean lääkeannoksen varmistamiseksi. Jos potilaan paino muuttuu, hoidon määrännyt terveydenhuollon ammattilainen päättää, miten toimitaan. Kotona annettavien infuusioiden yhteydessä tapahtuvien lääkitysvirheiden riskin minimoimiseksi infuusionesteen tilavuuden määrittäminen oikein on erittäin tärkeää, ja sen saa määrittää vain hoidon määräävä terveydenhuollon ammattilainen.

4.1.2 Apteekki- ja infuusiovälineet

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

4.1.3 Tarvikkeet

Lääkkeet ja seuraavassa luetellut tarvikkeet toimitetaan infuusion antavalle terveydenhuollon ammattilaiselle hoidon määränneen terveydenhuollon ammattilaisen antamalla asianmukaisella reseptillä.

- Injektiopullot, joissa on Myozyme[®]-valmistetta (infuusiokuiva-aine konsentraattiliuosta varten, 50 mg / injektiopullo); säilytettävä puhtaassa jääkaapissa +2 – +8 °C:ssa (laske tarvittavien injektiopullojen määrä potilaan painon perusteella)
- Steriili injektionesteisiin käytettävä vesi Myozyme[®]-valmisteen saattamiseksi käyttökuntoon (10,3 ml / injektiopullo)
- 0,9-prosenttinen NaCl-liuos laskimoon antoa varten
- 0,9-prosenttinen NaCl-liuos infuusiolinjan huuhteluun
- Klooriheksidiiniliuos (0,5 % klooriheksidiiniä 70-prosenttisessä alkoholissa; antiseptinen liuos)
- Tarvittava määrä 10 ml:n, 20 ml:n ja 50 ml:n ruiskuja Myozyme[®]-annoksen mukaan
- Steriilit injektioneulat (20G tai 21G), varaa 2 neulaa neljää injektiopulloa kohti
- Niukasti proteiinia sitova 0,2 µm in-line-suodatin
- Ääreislaskimoyhteyttä tai keskuslaskimoyhteyttä 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
- Infuusiota edeltävä lääkitys (tarvittaessa)
- Häätätilanteessa annettava lääkitys

4.1.4 Valmistelu

HUOMAUTUS: Käyttöohjeet (laimentaminen ja anto) on esitetty Myozyme-valmisteen valmisteyhteenvedossa.¹ Tässä osiossa on yksityiskohtainen kuvaus.

Ennen Myozyme[®]-valmisteen 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 Myozyme[®]-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 valmisteen käyttökuntoon saattamista on myös suositeltavaa paikallisten käytäntöjen mukaisesti asettaa laskimoyhteys (ääreislaskimokanyyli) tai yhdistää potilaan keskuslaskimoyhteys. Näin Myozyme[®] voidaan varmasti antaa välittömästi käyttökuntoon saattamisen 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.
- Tarkasta injektiopullot värjäytymisen ja hiukkasten varalta ja tarkasta viimeinen käyttöpäivämäärä. Älä käytä injektiopulloja etiketissä mainitun viimeisen käyttöpäivämäärän jälkeen.

4.1.5 Liuottaminen

On huomattava, että käyttökuntoon saattamisen aikana käytetään aseptista tekniikkaa!

- Poista Myozyme[®]-injektiopullon päällimmäinen korkki ns. flip off -korkki.
- Desinfioidi Myozyme[®]-injektiopullon kumitulppa klooriheksidiinillä ja anna kuivua.
- Avaa injektionesteisiin käytettävän steriilin veden pakkaus.

- Vedä vaadittu määrä (ml) steriiliä vettä ruiskuun.
 - Ruiskuta jokaiseen injektiopulloon hitaasti 10,3 ml injektionesteisiin käytettävää vettä. Pitoisuudeksi jokaisessa injektiopullossa saadaan 50 mg / 10 ml (5 mg/ml).
- Älä ruiskuta vettä liian voimakkaasti kuiva-aineeseen. Vaahtoamisen välttämiseksi lisää vesi hitaasti pisaroina injektiopullon sisäseinää pitkin. Älä ruiskuta vettä suoraan kylmäkuivattuun jauheeseen.
- Kallistele ja pyörittele jokaista injektiopulloa varovasti kylmäkuivatun jauheen liuottamiseksi. Älä käännä ylösalaisin, heiluttele äläkä ravista.
- Sekoittamisen jälkeen saattaa näkyä pieniä kuplia. Anna liuoksen seistä 10–20 minuutin ajan, jotta mahdolliset kuplat häviävät ja jauhe ehtii liueta kokonaan.
- Toista sama menettely jokaisen Myozyme[®]-injektiopullon kohdalla.
- Kumitulpan rikkoutumisen riskin pienentämiseksi neulat voidaan vaihtaa 4 injektiopullon välein.
- Tarkasta jokainen injektiopullo silmämääräisesti liuoksessa olevien hiukkasten ja liuoksen värjäytymisen varalta. Liuotetun konsentraatin on oltava kirkasta, väritöntä tai vaaleankeltaista. Liuoksessa voi näkyä hiukkasia ohuina valkoisina säikeinä tai läpikuultavina kuituina. Injektiopulloja ei saa käyttää, jos niissä esiintyy muunlaisia kuin edellä kuvattuja hiukkasia tai liuos on värjäätynyt.
- On suositeltavaa laimentaa Myozyme[®]-valmiste välittömästi liuottamisen jälkeen.

4.1.6 Laimentaminen

Liuos laimennetaan 0,9-prosenttisella NaCl:n vesiliuoksella lopulliseen pitoisuuteen 0,5–4 mg/ml. Katso Taulukko 1 potilaan painoa vastaavat infuusionestetilavuudet.

- Desinfioi yhden 0,9-prosenttista NaCl-liuosta sisältävän pussin korkki/pussinsuu klooriheksidiinillä ja anna sen kuivua.
- Työnnä neula infuusiopussin korkin läpi ja poista pussista 0,9-prosenttista NaCl-liuosta tilavuus, joka vastaa pussiin lisättävän

Myozyme[®]-liuoksen tilavuutta. Tämä vastaa 1 ml:aa potilaalle määrätyn Myozyme[®]-annoksen 5 mg:aa kohti.

- *Jos esimerkiksi 60 kg painavalle potilaalle määrätty annos on 1 200 mg, laimennettava tilavuus Myozyme[®]-valmistetta on 1 200 mg / 5 mg/ml eli 240 ml. 0,9-prosenttista NaCl-liuosta sisältävästä pussista poistetaan siis 240 ml.*
 - Poista mahdollinen ilma infuusiopussista.
 - Vedä 10 ml (vastaa 50 mg:aa) Myozyme[®]-liuosta kustakin injektiopullosta hitaasti ruiskuun.
 - Myozyme[®]-liuos lisätään hitaasti suoraan 0,9-prosenttiseen NaCl-liuokseen. Infuusiopussissa olevan valmisteen vaahtoamista on vältettävä, eikä infuusiopussia saa ravistaa. Ilman pääsyä infuusiopussiin on vältettävä.
 - *Edellä kuvatussa esimerkissä infuusiopussiin lisätään 240 ml Myozyme[®]-liuosta.*
 - Sekoita infuusiopussissa oleva liuos varovasti kääntelemällä tai puristelemalla infuusiopussia. Sitä ei saa ravistaa.
 - Suojaa infuusiopussi lämmöltä ja tärinältä, ja anna valmiste välittömästi laimentamisen jälkeen.
 - Liuos on suositeltavaa käyttää heti laimentamisen jälkeen. Liuoksen on kuitenkin osoitettu olevan fysikaalisesti ja kemiallisesti stabiili 24 tunnin ajan, kun se säilytetään 2–8 °C:n lämpötilassa ja suojattuna valolta.
- 4.1.7 Lääkevalmisteen antaminen**
- Kun Myozyme[®] on laimennettu, yhdistä letku infuusiopussiin ja poista mahdollinen ilma.

- Yhdistä niukasti proteiinia sitova 0,2 µm in-line-suodatin infuusiopussiin. Näin potilaalle ei anneta hiukkasia, joita on saattanut tahattomasti muodostua valmistelun aikana.
- Anna painovoiman täyttää infuusiolinja laimennetulla Myozyme[®]-valmisteella, ja yhdistä infuusiolinja potilaan laskimoyhteyteen.
- Ennen infuusion aloittamista tarkasta potilaan syke, verenpaine, hengitystiheys ja ruumiinlämpö.
- Infuusioon liittyvien reaktioiden riskin minimoimiseksi infuusion aloitusnopeus ei saa olla yli 1 mg/painokilo/h. Jos infuusio on hyvin siedetty, infuusionopeutta suurennetaan vaiheittain (2 mg:lla potilaan painokiloa ja tuntia kohden) 30 minuutin välein, kunnes on saavutettu maksimaalinen infuusionopeus 7 mg/painokilo/h (katso lisätietoa Taulukko 1).
- Kun infuusio on päättynyt, laskimolinjaan mahdollisesti jäänyt Myozyme[®]-valmiste poistetaan huuhtelemalla linja 0,9-prosenttisella NaCl-liuoksella käyttäen samaa nopeutta.
- Irrota infuusiolinja potilaan laskimoyhteydestä ja poista neula. Hävitä tarvikkeet paikallisten määräysten mukaisesti.
- Myozyme[®]-infuusion antoon ei saa käyttää samaa laskimoyhteyttä kuin muiden lääkevalmisteiden antoon.

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

Taulukko 1: Infuusionestetilavuudet ja infuusionopeuden vaiheittainen suurentaminen.

POTILAAN PAINO (kg)	INFUUSIONESTEEN KOKONAISTILAVUUS (ml)	VAIHE			
		1 1 mg/kg/h	2 3 mg/kg/h	3 5 mg/kg/h	4 7 mg/kg/h
1,25–10	50	3 ml/h	8 ml/h	13 ml/h	18 ml/h
10,1–20	100	5 ml/h	15 ml/h	25 ml/h	35 ml/h
20,1–30	150	8 ml/h	23 ml/h	38 ml/h	53 ml/h
30,1–35	200	10 ml/h	30 ml/h	50 ml/h	70 ml/h
35,1–50	250	13 ml/h	38 ml/h	63 ml/h	88 ml/h
50,1–60	300	15 ml/h	45 ml/h	75 ml/h	105 ml/h
60,1–100	500	25 ml/h	75 ml/h	125 ml/h	175 ml/h
100,1–120	600	30 ml/h	90 ml/h	150 ml/h	210 ml/h

Huomautus: Potilailla, joiden sydämen ja hengityselinten toiminta on heikentynyt, on suurentunut infuusioon liittyvän nesteylikuormituksen riski. Nesteylikuormitus saattaa johtaa sydämen ja hengityselinten tilan vaikeaan heikkenemiseen ja jopa kardiorespiratoriseen vajaatoimintaan. Infuusionopeutta suurennetaan vaiheittain 30 minuutin välein, mutta nopeuden suurentamista voidaan harkita vain siinä tapauksessa, että potilaalla ei ole infuusioon liittyviä reaktioita.

4.2 HAITTATAPAHTUMIEN TUNNISTAMINEN JA HOITO

4.2.1 Haittatapahtumien tunnistaminen

Yleisimmin ilmoitettuja haittatapahtumia 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 (Myozyme[®]-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.

Myozyme[®]-valmistetta saaneilla potilailla on ilmoitettu myös yliherkkyysoireita, anafylaksia mukaan lukien.

Taulukko 2 on kuvattu infuusioon liittyvien reaktioiden, yliherkkyysoireiden ja anafylaktisten reaktioiden havaitut oireet ja löydökset. Täydelliset tiedot Myozyme[®]-valmisteen turvallisuudesta, ks. valmisteyhteenvetäminen kohta 4.

Taulukko 2: Infuusioon liittyvien reaktioiden, yliherkkyysoireiden ja anafylaktisten reaktioiden havaitut oireet ja löydökset

Elinjärjestelmä	Oire/löydös*
Luusto ja lihakset	Nivelkipu Lihaskouristukset Lihaskipu
Hengityselimet	Apnea Bronkospasmi Yskä Dyspnea Hypoksia Nieluturvotus Happisaturaation pieneneminen Hengityspysähdys Hengitysvaikeudet Vinkuva hengitys Nopeutunut hengitys Kurkun ärsytys Puristava tunne kurkussa Hengityksen vinkuminen
Sydän ja verisuonisto	Bradykardia Sydämenpysähdys Syanoosi Punoitus

Elinjärjestelmä	Oire/löydös*
	Hypertensio Hypotensio Kalpeus Sydämentykytys Takykardia Vasokonstriktio
Iho	Rakkulat Eryteema Lisääntynyt hikoilu Verkkomainen lyijynginisyys Kutina Ihottuma Ohimenevä ihon värinmuutos Urtikaria
Hermosto	Agitaatio Heitehuimaus Päänsärky Kipu Parestesia Levottomuus Uneliaisuus Vapina
Ruoansulatuselimistö	Vatsakipu Ripuli Dyspepsia Dysfagia Pahoinvointi Yökkääminen Oksentelu
Silmät	Sidekalvotulehdus Lisääntynyt lakrimaatio Turvotus silmäkuopan ympärillä
Yleisoireet ja antopaikassa todettavat haitat	Angioödeema Astenia Rintatuntemukset/rintakipu Vilunväreet

Elinjärjestelmä	Oire/löydös*
	Kasvojen turvotus Väsymys Kuumotus/palelu Infuusiokohdan reaktiot (mukaan lukien kipu, turvotus, kovettuminen, ekstravasaatio, eryteema, urtikaria ja kutina) Ärtynisyys Huonovointisuus Perifeerinen turvotus Perifeerinen kylmyyden tunne Kuume
* Oireet ja löydökset on esitetty aakkosjärjestyksessä, ei esiintymistiheyden mukaan.	

- Infuusioon liittyvien reaktioiden ennaltaehkäisemiseksi tai vähentämiseksi voidaan antaa antihistamiineja, antipyreettejä 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 Myozyme-infuusion aikana. Pitkälle edennytta Pompen tautia sairastavien potilaiden sydämen ja hengityselinten toiminta voi olla heikentynyt, joten näiden potilaiden riski sairastua infuusioon liittyvien reaktioiden aiheuttamiin vakaviin komplikaatioihin on suurentunut.
- Potilailla, joiden sydämen ja hengityselinten toiminta on heikentynyt, on suurentunut infuusioon liittyvän nesteylikuormituksen riski. Nesteylikuormitus saattaa johtaa sydämen ja hengityselinten tilan vaikeaan heikkenemiseen ja jopa kardiorespiratoriseen vajaatoimintaan.
- Potilaita on tarkkailtava infuusion jälkeen hoidon määränneen terveydenhuollon ammattilaisen määrittämä aika.

4.2.2 Haittatapahtumien kliininen hoito

Suurin osa ilmoitetuista infuusioon liittyvistä reaktioista ja yliherkkyyssreaktioista oli lieviä tai keskivaikeita, ja ne voitiin hoitaa tavanomaisin kliinisin keinoin (ks. lisätietoja Myozyme[®]-valmisteen valmisteyhteenvedosta) [1].

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

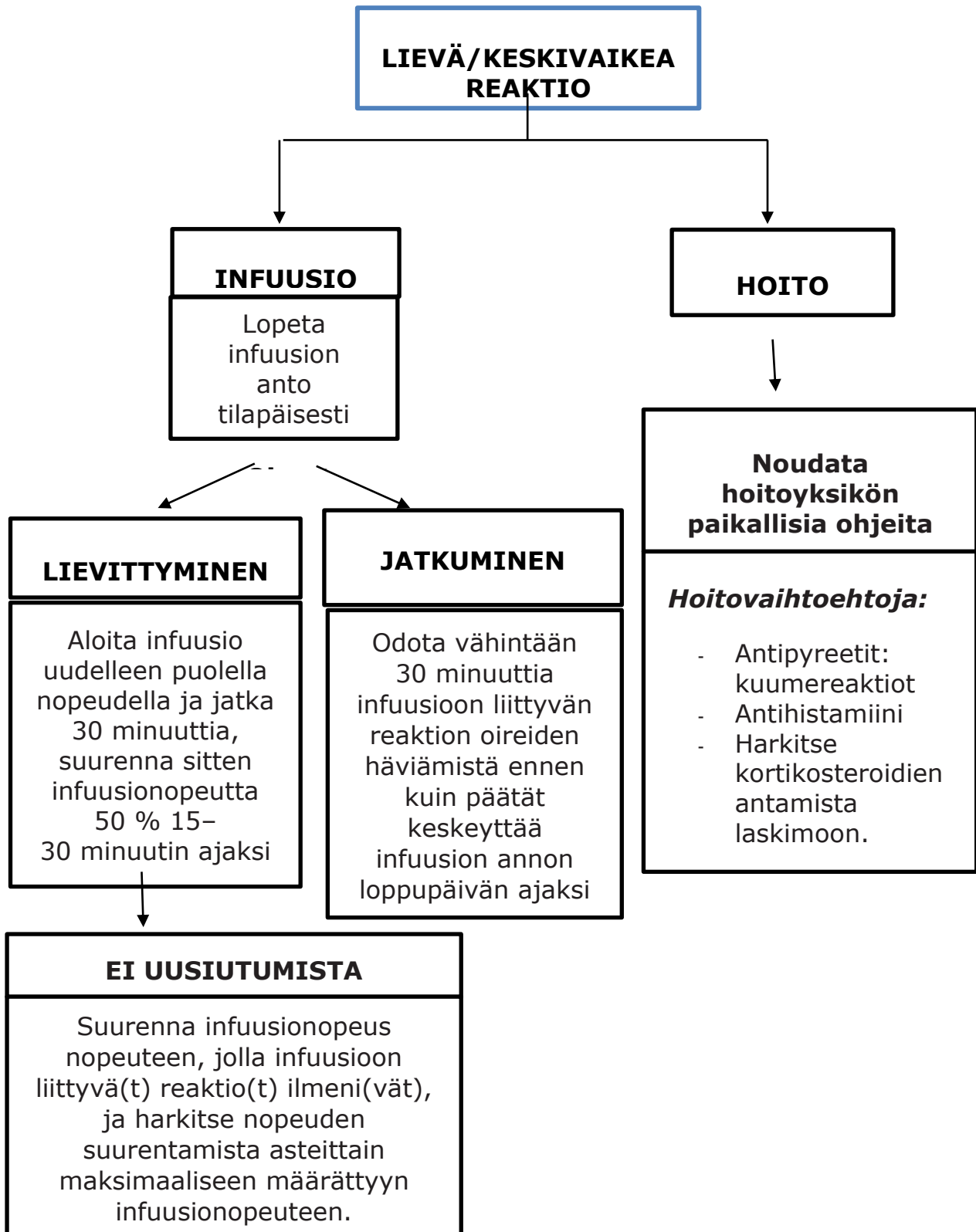
Jos potilaalla ilmenee infuusioon liittyvä reaktio (mukaan lukien yliherkkyyssreaktiot ja anafylaktiset reaktiot) kotona annettavan infuusion aikana, infuusion anto on keskeytettävä välittömästi (välineitä ei kuitenkaan poisteta). Yksilöllisessä hätäsuunnitelmassa kuvattuihin toimenpiteisiin on ryhdyttävä infuusioon liittyvän reaktion vaikeusasteen mukaan (eli lopetettava infuusion anto tilapäisesti tai kokonaan) ja asianmukainen hoito on aloitettava tarvittaessa.

Katso esimerkkejä lievien/keskivaikeiden tai vaikeiden haittatapahtumien kliinisestä hoidosta [Kuva 1](#) ja [Kuva 2](#).

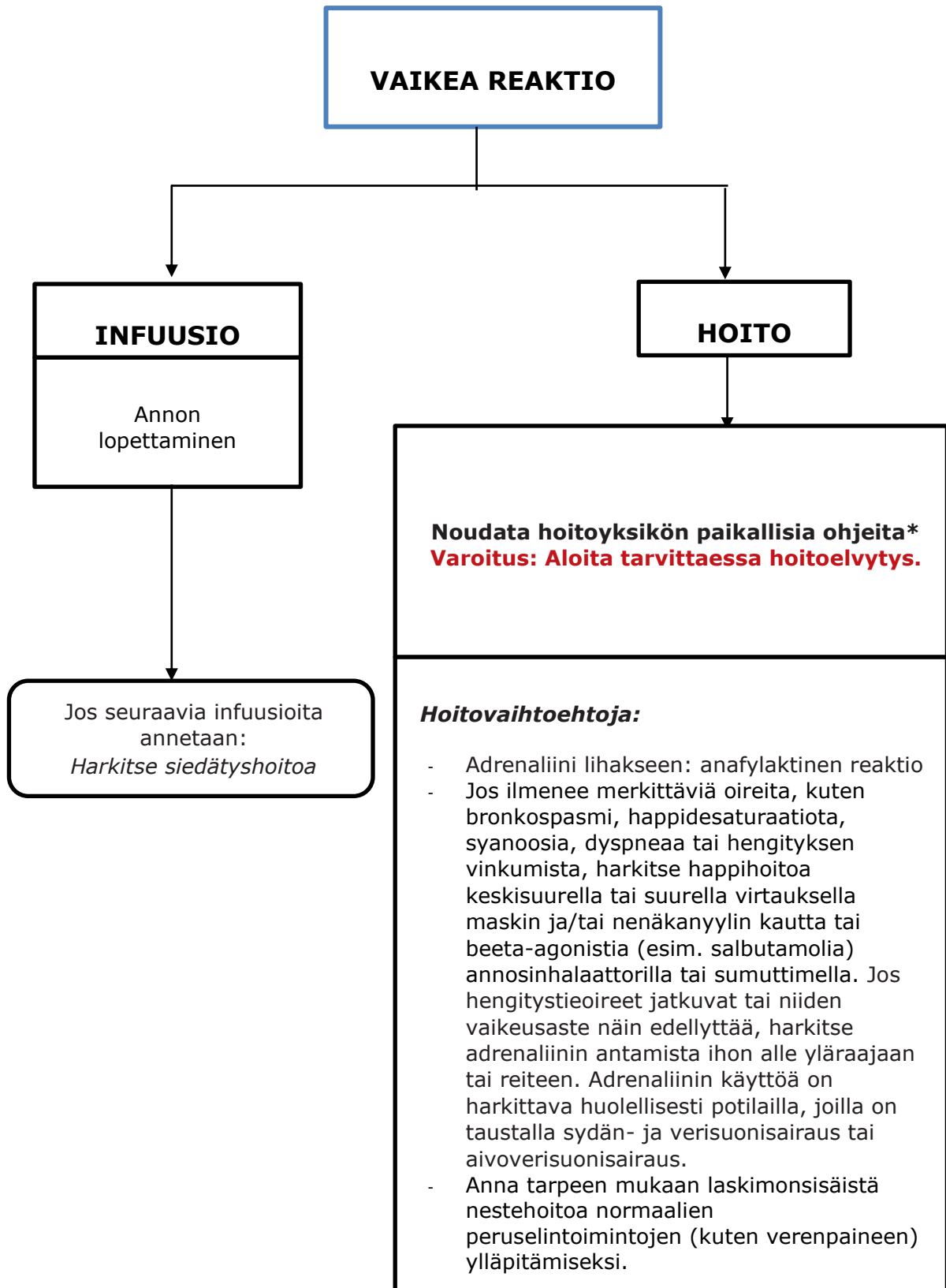
Seuraavat infuusiot on mahdollisesti annettava sairaalassa tai asianmukaisessa polikliinisessä hoitoyksikössä, kunnes tällaisia haittavaikutuksia ei enää ilmene. Potilasta hoitava terveydenhuollon ammattilainen määrittää, voidaanko kotona annettaviin infuusioihin palata.

Seuraavissa infuusioissa ei saa muuttaa annosta ja infuusionopeutta konsultoimatta hoidon määrännyttä terveydenhuollon ammattilaista.

Kuva 1: Lievien tai keskivaikeiden reaktioiden kliininen hoito.



Kuva 2: Vaikeiden reaktioiden, esim. yliherkkyysoireiden ja anafylaktisten reaktioiden kliininen hoito



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

4.3 HAITTATAPAHTUMISTA ILMOITTAMINEN

Haittatapahtuma on määritelmän mukaan mikä tahansa fyysinen, psyykkinen 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 Sanofin 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).

Kaikkien haittatapahtumien yhteydessä pyydetään ottamaan yhteyttä Sanofin lääketurvayksikköön lähettämällä viesti osoitteeseen Pharmacovigilance.finland@sanofi.com tai soittamalla Sanofin paikalliseen yhteysnumeroon 020 120 0368. Vaihtoehtoisesti voidaan ottaa yhteyttä Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimeaan:

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.

5 LISÄTIETOA

Täydelliset käyttöaihelausekkeet ja lisätietoa Myozyme[®]-valmisteen (alglukosidaasi alfan) myyntiluvan mukaisesta käytöstä, ks. valmisteyhteenvedo.

Linkki Myozyme-valmisteen (suomenkieliseen) valmisteyhteenvedoon:

https://www.ema.europa.eu/fi/documents/product-information/myozyme-epar-product-information_fi.pdf

6 VIITTEET

1. Myozyme-valmisteiden valmisteyhteenveto:
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 May 8;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 Apr 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.

Sanofi Oy

Puh: 0201 200 300, www.sanofi.fi

Hyväksytty 6.11.2024 (Fimea)

[VV-PV-0560148]