

Opas terveydenhuollon ammattilaisille sipaglukosidaasi alfa -infuusioiden antamiseen liittyvien riskien minimoimiseen

VERSIO 1.0

Terveystenhuollon ammattilaisten, jotka määräävät tai osallistuvat Pombilitin (sipaglukosidaasi alfa) antoon, tulee lukea ja ymmärtää tässä pakkauksessa annetut tiedot.

Katso valmisteyhteenvedosta sipaglukosidaasi alfan turvallisuustiedot, saatavilla Euroopan lääkeviraston verkkosivulla: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/pombilit>

▼ Tähän lääkevalmisteeseen kohdistuu lisäseuranta. Tällä tavalla voidaan havaita nopeasti turvallisuutta koskevaa uutta tietoa. Terveystenhuollon ammattilaisia pyydetään ilmoittamaan epäillyistä lääkkeen haittavaikutuksista.

Terveystenhuollon ammattilaisia pyydetään ilmoittamaan kaikista epäillyistä haittavaikutuksista www-sivusto: www.fimea.fi luetellun kansallisen ilmoitusjärjestelmän kautta.

Haittavaikutukset tulee myös ilmoittaa Amicus Medical Informationille, puhelin: **(+358) 0800 917 780**; sähköposti: drugsafety@amicusrx.com.

SISÄLLYSLUETTELO

1	Sisältö ja tavoitteet	3
2	Koti-infuusiokelpoisuuden arviointi	4
3	Kotona annettavan infuusion vaatimukset ja järjestäminen	
	3.1 Potilas	5
	3.2 Hoitava lääkäri	6
	3.3 Infuusioidon antava terveydenhuollon ammattilainen / sairaanhoitaja	8
	3.4 Potilaalle tehtävä lääkärintarkastus ennen kotona annettavan infuusion antoa	10
	3.5 Esihoito ja ensiapuhoito	10
	3.6 Infuusiopäiväkirja	11
4	Kotona annettava infuusiohoito	13
5	Sipaglukosidaasi alfa -infuusion valmistelu ja anto	
	5.1 Lääkemääräys	14
	5.2 Tarvikkeet	14
	5.3 Aikajana lääkkeen antoon, mukaan lukien Opfolda-valmisteen anto	15
	5.4 Pombiliti + Opfolda -valmisteiden annostus perustuu kehonpainoon	17
	5.5 Käyttökuntoon saattamisen valmistelut	18
	5.6 Kylmäkuivatun jauheen käyttökuntoon saattaminen	19
	5.7 Liuoksen laimennus	20
	5.8 Infuusion anto	21
6	Lääkityspoikkeamien, infuusioon liittyvien reaktioiden ja yliherkkyyssreaktioiden tunnistaminen ja hoito	23
7	Turvallisuusraportti	26
8	Lisätietoa	27

1

SISÄLTÖ JA TAVOITTEET

Sipaglukosidaasi alfa on infuusiohoito, jota käytetään yhdessä miglustaatin kanssa Pompen tautia sairastavilla potilailla. Mukavuuden lisäämiseksi ja potilaan elämänlaadun parantamiseksi laskimoon annettava hoito voidaan antaa potilaan kotona, jos tietyt vaatimukset pystytään täyttämään.

Tietoja tästä oppaasta

Tämän lääkäreille ja terveydenhuollon ammattilaisille suunnatun oppaan tarkoituksena on minimoida kotona annettavan sipaglukosidaasi alfa-infuusion yhteydessä tapahtuvien lääkitysvirheiden riski, ja antaa selkeää ohjausta seuraaviin:

- **Mitkä potilaat soveltuvat kotona annettavaan infuusiohoitoon ja miten kotona annettavat infuusiot järjestetään, mukaan lukien esilääkitys ja infuusioreaktioiden ensiapuhoito**
- **Valmisteen valmisteleminen, käyttökuntoon saattaminen ja antaminen kotona**
- **Haittavaikutusten tunnistaminen ja hoito, mukaan lukien infuusioon liittyvät reaktiot (IAR), sekä mahdolliset toimenpiteet haittavaikutusten hoitoon oireiden ilmetessä.**
- **Lääkepoikkeamien tunnistaminen ja hoito**

Koti-infuusio tapahtuu hoitavan lääkärin vastuulla. Potilaan koulutusmateriaalin saa antaa vain, jos hoitava lääkäri arvioi, että potilas soveltuu kotona annettavaan infuusiohoitoon.

Tässä asiakirjassa esitetyt prosessit ovat yleisluontoisia ohjeita, mutta niihin sovelletaan paikallisia lääketieteellisiä käytäntöjä ja kansallisia ohjeita ja määräyksiä.

2

KOTI-INFUUSIOKELPOISUUDEN ARVIOINTI

Päätös potilaan siirtämisestä koti-infuusioon on tehtävä arvioinnin jälkeen ja hoitavan lääkärin suosituksesta. Potilaan soveltuvuutta infuusioiden antoon kotona arvioitaessa on otettava huomioon potilaan muut perussairaudet ja potilaan kyky sitoutua kotona annettavien infuusioiden vaatimuksiin. Ennen järjestelyjen tekemistä hoitavan lääkärin on määritettävä, täyttääkö potilas seuraavat ensisijaiset kotona annettavan infuusion kriteerit:

(KATSO MYÖS LÄÄKEMÄÄRÄYSTIEDOT)

- **Potilas on sietänyt infuusiot hyvin, eikä hänellä ole ilmennyt keskivaikeita tai vaikeita infuusioon liittyviä reaktioita muutaman viimeksi kuluneen kuukauden aikana.**
- Potilas on saanut sipaglukosidaasi alfa -infuusiohoitoa muutaman kuukauden ajan sairaalassa tai poliklinikalla Pompen taudin hoitoon perehtyneen lääkärin valvonnassa. Koti-infuusion aloittamisen edellytyksenä on dokumentoidusti hyvin siedetyt infuusiot, joihin ei liity infuusioon liittyviä reaktioita tai joihin liittyy vain lieviä infuusioon liittyviä reaktioita, jotka on pystytty hoitamaan esilääkityksellä.
- Potilaan tilan katsotaan olevan lääketieteellisesti riittävän vakaa. Kattava tilanteen arviointi on suoritettava ennen koti-infuusioiden aloittamista.
- Potilas on sitoutunut noudattamaan määrättyä annostusaikataulua ja miglustaatin edellyttämiä paastovaatimuksia.
- Potilaan täytyy suostua ja kyetä noudattamaan kotona annettaviin infuusioihin liittyviä menettelyjä.

3

KOTONA ANNETTAVAN INFUUSION VAATIMUKSET JA JÄRJESTÄMINEN

3.1

Potilas

YLEISTÄ

- Potilas ja/tai häntä hoitava(t) henkilö(t) **on saanut / ovat saaneet hoidon määränneeltä terveydenhuollon ammattilaiselta tietoa kotona annettavasta hoidosta ja siihen liittyvistä riskeistä** (joita ovat esim. yliherkkyyssreaktiot, infuusioon liittyvät reaktiot ja lääkitysvirheet). 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 haattatapahtumat, kuten yliherkkyyssreaktiot ja infuusioihin liittyvät reaktiot**, sekä ymmärtävät, miten mahdollisten haattatapahtumien ilmetessä on toimittava.
- **Kodin on sovelluttava kotona annettavan infuusioiden toteuttamiseen.** Tämä tarkoittaa, että saatavilla on oltava muun muassa puhdas tila, jossa on sähköt, vettä, mahdollisuus puhelimen käyttöön ja jääkaappi.
- Potilaan ja/tai häntä hoitavien henkilöiden **on ymmärrettävä, että sipaglukosidaasi alfa on aina annettava yhdessä miglustaatin kanssa**, ja että miglustaatti on aina annettava 1 tunti ennen sipaglukosidaasi alfa -infuusiota. Jos infuusio viivästyy, infuusion aloitusajankohta ei saa olla yli 3 tuntia miglustaatin ottamisesta. Jos sipaglukosidaasi alfan antoa ei voida aloittaa alle 3 tuntia miglustaatin antamisesta suun kautta, sipaglukosidaasi alfa- ja miglustaattihoito on ajastettava tapahtumaan vähintään 24 tunnin kuluttua miglustaatin ottamisesta. Jos sekä sipaglukosidaasi alfa- että miglustaattiannos ovat jääneet antamatta, hoito tulee antaa mahdollisimman pian.
- Potilaalle on **kerrottu, että infuusion antaa hoitaja tai joku muu terveydenhuollon ammattilainen.**
- **Jos potilaalla ilmenee haattavaikutuksia kotona toteutettavien infuusioiden aikana, hänen (tai potilasta hoitavan henkilön) on ilmoitettava niistä kotona annettavan infuusion antavalle terveydenhuollon ammattilaiselle / sairaanhoitajalle tai otettava välittömästi yhteyttä hoitavaan lääkäriin.** Myöhemmät infuusioiden voi olla tarpeen toteuttaa sairaalassa tai muussa asianmukaisessa terveydenhuollon toimipaikassa.

3.1

(jatkuu)

LÄÄKETIETEELLISET SEIKAT

- Potilaan on sovellettava sekä **fyysisesti että psyykkisesti** kotona annettavaan infuusihoitoon.
- Potilaalla on **laskimoyhteys tai keskuslaskimokatetri**, joka mahdollistaa asianmukaisen infuusion antamisen.

Potilaat, joilla on akuutti taustalla oleva hengitystiesairaus tai heikentynyt sydämen ja/tai hengityselinten toiminta

Potilailla, joilla on akuutti taustalla oleva hengitystiesairaus tai heikentynyt sydämen ja/tai hengityselinten toiminta, voi olla sydämen tai hengityselinten toiminnanvajausten pahenemisen riski infuusioiden aikana. Asianmukaisten lääketieteellisten tuki- ja seurantatoimenpiteiden on oltava helposti toteutettavissa sipaglukosidaasi alfa -infuusion aikana.

Potilaita, joilla on erityinen riski saada infuusioon liittyviä reaktioita, ovat:

- Potilaat, joilla on akuutti sairaus infuusioidon aikana. Tästä on keskusteltava hoitavan lääkärin kanssa ennen infuusion aloittamista, ja potilasta on tarvittaessa seurattava pidemmän aikaa. Infuusion siirtämistä on harkittava, jos potilaalla on akuutti hengitystiesairaus tai kroonisen hengitystiesairauden akuutti pahenemisvaihe infuusion aikana.
- Potilaat, joilla on pitkälle edennyt Pompen tauti ja joilla on heikentynyt sydämen ja/tai hengityselinten toiminta, kuten sydämen vajaatoiminta, akuutti hengitystiesairaus tai keuhkopöhö, näillä potilailla on infuusioon liittyvän sydämen tilavuuden ylikuormituksen ja vakavan sydämen tai hengityselinten toiminnan heikkenemisen ja jopa sydämen ja keuhkojen toiminnanvajausten riski. Asianmukaiset elvytystoimenpiteet ja lääketieteelliset tuki- ja seurantatoimenpiteet on toteutettava lääkärin antamien ohjeiden mukaisesti ja tiettyjä potilaita on ehkä seurattava kauemmin lääkärin harkinnan mukaan.

(jatkuu)

3.2

Hoitava lääkäri

→ **Koti-infuusio tehdään hoitavan lääkärin vastuulla.** Koulutusmateriaalia saa jakaa infuusioidon antaville terveydenhoidon ammattilaisille ja potilaalle / häntä hoitaville henkilöille vain, jos hoidon määrännyt lääkäri katsoo, että potilas soveltuu kotona annettavaan infuusiohoitoon. Hoitavan lääkärin vastuulla on **varmistaa lääkkeen turvallinen anto potilaalle, jotta vältetään lääkitysvirheiden ja infuusioon liittyvien reaktioiden riskit, mukaan lukien yliherkkyysreaktiot ja anafylaktiset reaktiot.** Hoitavan lääkärin on tarkistettava ja dokumentoitava tämä.

→ Hoitava lääkäri **päätää, delegoidaanko** kotona annettava infuusiohoito terveydenhuollon ammattilaiselle / sairaanhoitajalle, ja **jos niin toimitaan, että lääkevalmisteen anto ja mahdollinen tarvittava potilaan seuranta, esilääkitys ja ensiapuhoito on suunniteltu turvallisesti.**

Jos lääkkeen anto delegoidaan terveydenhuollon ammattilaiselle, hoitavan lääkärin vastuulla on:

- Kouluttaa terveydenhuollon ammattilaiset / sairaanhoitajat (tai varmistaa, että heillä on asianmukainen pätevyys) sekä potilaat ja/tai heitä hoitavat henkilöt
 - Määrittää sipaglukosidaasi alfan oikea annostus ja infuusionopeus
 - Laatia yksilöllinen hätätilannesuunnitelma, joka sisältää tarkat ohjeet ja yhteystiedot
 - Merkitä tarvittavat infuusiomateriaalit ja sopivat esilääkitys- ja hätälääkkeet
 - Kertoa terveydenhuollon ammattilaisille / sairaanhoitajille asianmukaisesta annoksesta, infuusionopeudesta ja toimenpiteistä sekä siitä, että yksilöllisesti laadittua hätätilannesuunnitelmaa ei saa muuttaa ilman hoitavan lääkärin nimenomaisia ohjeita.
 - Muutoksista on kerrottava selkeästi potilaalle ja/tai häntä hoitaville henkilöille sekä sipaglukosidaasi alfan valmistelua ja antoa valvovalle terveydenhuollon ammattilaiselle. Hoitavan lääkärin on suositeltavaa dokumentoida kaikki nämä toimenpiteet ja niiden toteutus infuusiopäiväkirjaan.
- Hoitava lääkäri on vastuussa kaikkien tarvittavien **hallinnollisten toimien käynnistämisestä**, jotta muut osapuolet (potilas ja/tai häntä hoitavat henkilöt, infuusion antava terveydenhuollon ammattilainen / sairaanhoitaja, apteekki) voivat jatkaa.

(jatkuu)

3.2

- Hoitavan lääkärin **vastuulla on antaa potilaalle ”Opas Pompen tautia sairastaville potilaille, jotka saavat koti-infuusiona sipaglukosidaasia alfaa”, joka sisältää infuusiopäiväkirjan.** Sipaglukosidaasi alfan infuusionopeutta, jota potilas on aiemmin sietänyt sairaalassa tai muussa terveydenhuollon toimipaikassa, ei saa muuttaa annettaessa valmistetta kotona, ellei tämä ole tarpeen esimerkiksi turvallisuussyistä. Kaikki muutokset sipaglukosidaasin alfan annossa on dokumentoitava selkeästi infuusiopäiväkirjaan.
- Jos sairaalassa tai muussa terveydenhuollon toimipaikassa annetaan infuusiota edeltävää hoitoa (esim. antihistamiineja, kuumelääkkeitä ja/tai kortikosteroideja), **se on annettava potilaskohtaisen lääkemääräyksen mukaisesti, ja se on kuvattava infuusiopäiväkirjassa.** Tätä hoitoa ei saa muuttaa kotiooloissa, ellei hoidon määrännyt lääkäri katso sen olevan lääketieteellisesti aiheellista.
- Hätätilanteessa annettava hoito on annettava **potilaskohtaisen lääkemääräyksen mukaisesti, ja se on kuvattava infuusiopäiväkirjassa.**
- Hoitavan lääkärin on **varmistettava, että infuusion antavan terveydenhuollon ammattilaisen / sairaanhoitajan käytettävissä on nopea ja luotettava viestintäyhteys,** jos koti-infuusiohoidolla hoidettavalla potilaalla ilmenee infuusion liittyvä reaktio ja tarvitaan lääketieteellistä apua.
- **Hoitavan lääkärin vastuulla** on seurata säännöllisesti kotona annettavaa infuusiohoitoa saavan potilaan sairautta.
- **Infuusioiden asianmukaisen aikataulun laatiminen ja seuranta** ovat hoidon määränneen lääkärin ja infuusion antavan terveydenhuollon ammattilaisen / sairaanhoitajan vastuulla.

→ **Hoitavan lääkärin on yhdessä infuusion antavan terveydenhuollon ammattilaisen / sairaanhoitajan kanssa ilmoitettava Amicus Therapeuticsille kaikista epäillyistä haittavaikutuksista ja lääkitysvirheistä kohdassa 7 kuvatulla tavalla.**

3.3**Infuusion antava terveydenhuollon ammattilainen / sairaanhoitaja**

- Infuusion antavalla terveydenhuollon ammattilaisella / sairaanhoitajalla on hoitavan lääkärin ja potilaan ja/tai häntä hoitavien henkilöiden välistä viestintää koskeva **koordinoiva rooli** hoidon järjestämisessä kotona. Hän määrittää yhdessä hoitavan lääkärin, potilaan ja/tai häntä hoitavien henkilöiden kanssa kotona tarvittavan tuen tason.

3.3

(jatkuu)

- Hän on tiiviissä **yhteydessä hoitavaan lääkäriin** sopimuksen mukaisesti ja tiedottaa lääkäriä säännöllisesti hoidon etenemisestä.
- Infuusion antava terveydenhuollon ammattilainen / sairaanhoitaja on **pätevä antamaan suonensisäisiä infuusioita, hän on saanut asianmukaisen koulutuksen sipaglukosidaasi alfan antamiseen yhdessä miglustaatin kanssa ja hän on saanut koulutuksen mahdollisten haittavaikutusten tunnistamisesta** (mukaan lukien vakavat haittavaikutukset, kuten anafylaktoidiset reaktiot) **ja toimenpiteistä**, joihin on ryhdyttävä reaktioiden ilmetessä.
- Infuusion antava terveydenhuollon ammattilainen / sairaanhoitaja **noudattaa tarkasti sipaglukosidaasi alfan ja miglustaatin yhdistelmän valmistelussa ja antamisessa määrättyä menetelmää**, joka on kuvattu tässä oppaassa ja lääkemääräystä koskeissa tiedoissa.
- Infuusioiden antava terveydenhuollon ammattilainen / sairaanhoitaja **noudattaa tarkasti infuusiopäiväkirjaan merkittyä sipaglukosidaasi alfan määritettyä annosta ja infuusionopeutta**.
- **Infuusioiden asianmukainen aikataulutus ja seuranta** on hoitavan lääkärin ja infuusion antavan terveydenhuollon ammattilaisen / sairaanhoitajan vastuulla.
- Infuusion antava terveydenhuollon ammattilainen / sairaanhoitaja **kirjaa jokaisen** sipaglukosidaasi alfan annoksen infuusiopäiväkirjaan.
- Infuusion antava terveydenhuollon ammattilainen / sairaanhoitaja on **käytettävissä aina kotona annettavan infuusion aikana ja määritetyn ajan infuusion jälkeen** riippuen potilaan sietokyvystä ennen koti-infuusioiden aloittamista.
- **Infuusioon liittyvien reaktioiden asianmukainen lievittäminen, mukaan lukien infuusionopeuden hidastaminen, infuusion tilapäinen keskeyttäminen, oireenmukainen hoito suun kautta otettavilla antihistamiineilla tai kuumelääkkeillä sekä asianmukaiset elvytystoimenpiteet**, on infuusion antavan terveydenhuollon ammattilaisen / sairaanhoitajan vastuulla. Katso lisätietoja kohdasta 6.
- Infuusion antava terveydenhuollon ammattilainen / sairaanhoitaja **dokumentoi jokaisen infuusion ja kuvailee potilaan terveydentilan ennen infuusiota ja sen jälkeen, annostuksen, infuusionopeuden, mahdolliset haittavaikutukset/hätätilanteet ja niiden hoidon**.
- Kaikki **infuusioon liittyvät reaktiot, mukaan lukien yliherkkyysoireet ja anafylaktiset reaktiot**, on kirjattava infuusiopäiväkirjaan.

3.3

(jatkuu)

- Infuusion antava terveydenhuollon ammattilainen / sairaanhoitaja **keskustelee hoitavan lääkärin kanssa potilaan palaamisesta sairaalaan/poliklinikalle** myöhempiä infuusioita varten.



Infuusion antavan terveydenhuollon ammattilaisen / sairaanhoitajan on hoitavan lääkärin välityksellä ilmoitettava Amicus Therapeuticsille kaikista epäillyistä haittavaikutuksista ja lääkevirheistä kohdassa 7 kuvatulla tavalla.

3.4

Potilaalle tehtävä lääkärintarkastus ennen koti-infuusion antamista

Ennen jokaisen sipaglukosidaasi alfa -infuusion antamista potilaan soveltuvuus infuusioon

on varmistettava. Potilaan yleiskunnon ja voinnin tulee yksilöllisen sairaustilanteen mukaan olla hyvä. Akuutin sairauden tai kuumeen esiintyminen on suljettava pois. Potilaalta on kysyttävä, onko hänellä ilmennyt haittavaikutuksia edellisen infuusion yhteydessä (esim. sen jälkeen, kun infuusion antava terveydenhuollon ammattilainen / sairaanhoitaja on poistunut potilaan kodista). Verenpainetta, sykeä, hengitystaajuutta ja kehon lämpötilaa on seurattava säännöllisesti infuusion alussa ja myös infuusion aikana, erityisesti ennen infuusionopeuden suurentamista. Jos potilaalla on jokin samanaikainen sairaus tai hänellä on todettu haittavaikutuksia edellisen infuusion yhteydessä, hoitavan lääkärin kanssa on keskusteltava ennen infuusion aloittamista.

3.5

Esihoito ja ensiapuhoito

- **Lievien infuusioon liittyvien reaktioiden ja oireiden lievittämiseen voidaan käyttää esilääkitystä suun kautta otettavien antihistamiinien, kuumelääkkeiden ja/tai kortikosteroidien muodossa. Asianmukainen esihoito on annettava potilaskohtaisen lääkemääräyksen perusteella.** Sairaalassa tai muussa asianmukaisessa avohoidon toimipaikassa annettua hoitoa ei saa muuttaa kotiympäristössä, ellei se ole lääketieteellisesti perusteltua hoitavan lääkärin harkinnan mukaan.
- **Lääkkeitä on oltava saatavilla hätätilanteita varten.** Hoitavan lääkärin on annettava kotona infuusion antavalle terveydenhuollon ammattilaiselle / sairaanhoitajalle asianmukainen koulutus hätätilanteessa annettavan hoidon lääkkeiden käytöstä.

(jatkuu)

3.5

- Jos potilaalla ilmenee infuusioon liittyvä reaktio, on harkittava asianmukaista hoitoa, kuten infuusionopeuden hidastamista, infuusion tilapäistä keskeyttämistä, oireenmukaista hoitoa suun kautta otettavilla antihistamiineilla tai kuumelääkkeillä ja asianmukaisia elvytystoimenpiteitä. Kohdassa 6 annetaan ohjeita infuusioon liittyvien reaktioiden oireiden hoitoon. Luettelo infuusioon liittyvien reaktioiden oireista ei kuitenkaan ole kattava, ja sen on tarkoitus toimia infuusion antavien terveydenhuollon ammattilaisten / sairaanhoitajien ohjeena infuusioon liittyvien reaktioiden oireiden, mukaan lukien anafylaksian, hätähoitoon. Hoitavan lääkärin harkinnan mukaan on noudatettava hoito-ohjeita tai toteutettava hoitoprotokolla, jota hoitolaitoksessa noudatetaan.
- Jos potilaalla ilmenee anafylaksia tai vaikea allerginen reaktio infuusion aikana tai pian sen jälkeen, **infuusio on lopetettava välittömästi ja asianmukainen lääkehoito aloitettava**. Jos potilaan hoitoa jatketaan, seuraavan infuusion on **tapahduttava sairaalassa** tai muussa terveydenhuollon toimipaikassa, joka on varustettu tällaisten lääketieteellisten hätätilanteiden varalta.

3.6**Infuusiopäiväkirja**

- Infuusiopäiväkirja toimii viestintävälineenä **kaikille kotona annettavaan sipaglukosidaasi alfan ja miglustaatin yhdistelmähoitoon osallistuville**.
- Infuusion antava terveydenhuollon ammattilainen / sairaanhoitaja **kirjaa infuusiopäiväkirjaan ensimmäisen infuusion tulokset ja toimenpiteet** sekä kaikki olennaiset tiedot seuraavista infuusioista.
- **Potilaan ja/tai häntä hoitavien henkilöiden sekä infuusion antavan terveydenhuollon ammattilaisen / sairaanhoitajan on täytettävä hätäyhteystietoluettelo**, joka on saatavilla kotona olevassa infuusiopäiväkirjassa.
- Infuusiopäiväkirjaa on säilytettävä **potilaan kotona**, ja infuusion antavan terveydenhuollon ammattilaisen / sairaanhoitajan ja/tai potilaan tai potilasta hoitavien henkilöiden on päivitettävä infuusiopäiväkirja joka kerta, kun sipaglukosidaasi alfaa annetaan.
- Potilaan / häntä hoitavan henkilön on **otettava infuusiopäiväkirja mukaan sairaalaan/ poliklinikalle** jokaisella käynnillä ja tuotava se takaisin kotiin sen jälkeen.

(jatkuu)

3.6

- **Hoitava lääkäri merkitsee infuusiopäiväkirjaan selkeästi annoksen, tarvittavan käyttökuntoon saatetun määrän, infuusionopeuden sekä mahdolliset muutokset.**
- **Hoitava lääkäri kertoo selkeästi, mitä on tehtävä, mitä **esilääkkeitä on annettava** ja **mitä lääkkeitä on annettava vakavan infuusioon liittyvän reaktion ilmetessä** tämänhetkisten kiireelliseen hoitoon liittyvien lääketieteellisten standardien mukaisesti.**
- **Infuusiopäiväkirjaan on kirjattu **hoitavan lääkärin yhteystiedot** ja maakohtainen kansallinen hätänumero.**

4

KOTONA ANNETTAVA INFUUSIOHOITO

Hoitava lääkäri on vastuussa kotona annettavan infuusioidon järjestämisestä ja hänen on sovittava koti-infuusiotoimenpiteestä ja varmistettava, että koti-infuusion antava terveydenhuollon ammattilainen / sairaanhoitaja on asianmukaisesti tehtävään koulutettu.

Infuusion antava terveydenhuollon ammattilainen / sairaanhoitaja suorittaa koko infuusiotoimenpiteen potilaan kotona. Infuusion antava terveydenhuollon ammattilainen / sairaanhoitaja on käytettävissä aina koti-infuusion aikana ja määritetyn ajan infuusion jälkeen sen mukaan, millainen potilaan siedettävyys on ollut ennen koti-infuusion aloittamista.

Tämän asiakirjan **kohdassa 5** kuvattuja toimintatapoja on noudatettava valmistettaessa ja annettaessa infuusioita, ja jokainen sipaglukosidaasi alfan anto on kirjattava infuusiopäiväkirjaan (**kohta 3.6**). Jos sipaglukosidaasi alfan käyttökuntoon saattamisessa ja antamisessa ilmenee ongelmia, infuusion antavan terveydenhuollon ammattilaisen / sairaanhoitajan on keskusteltava hoitavan lääkärin kanssa asianmukaisista toimenpiteistä ennen infuusion aloittamista uudelleen tai jatkamista.

Jos potilas kokee, että hoito ei tehoa, hänen on otettava yhteyttä hoitavaan lääkäriin.

5

SIPAGLUKOSIDAASI ALFA -INFUUSION VALMISTELU JA ANTO

Käyttökuntoon saattamiseen, laimentamiseen ja antamiseen liittyvät käyttöohjeet löytyvät valmisteyhteenvedosta.

Valmisteyhteenvedo on saatavilla verkossa osoitteessa

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/Pombiliti>

5.1

Lääkemääräys

Hoitava lääkäri määrittää ja kirjaa infuusiopäiväkirjaan miglustaattiannoksen, sipaglukosidaasi alfa -annoksen, tarvittavan käyttökuntoon saatetun tilavuuden, infuusionopeuden, esilääkityksen, ensiapulääkityksen sekä mahdolliset hoidon muutokset. Kaikki lääkemääräykseen tehtävät muutokset on kirjattava infuusiopäiväkirjaan.

Koska sipaglukosidaasi alfan annostus perustuu potilaan painoon, on tärkeää tarkistaa potilaan paino säännöllisesti oikean annostuksen varmistamiseksi. Delegointitapauksessa hoitavan lääkärin on päätettävä, miten painonmuutos vaikuttaa annostukseen. Lääkitysvirheiden välttämiseksi tarvittavan infuusiomäärän oikea määrittäminen on erittäin tärkeää, ja hoitavan lääkärin on määritettävä se etukäteen.

5.2

Tarvikkeet

HOITOPÄIVÄN TARKISTUSLISTA



TUOTTEET

- ☐ Pombiliti 105 mg injektiopullot (20 mg/kg joka toinen viikko)
- ☐ Opfolda-kapselit (potilaat ≥ 50 kg, 4 kapselia [yhteensä 260 mg]; potilaat ≥ 40 kg - < 50 kg, 3 kapselia [yhteensä 195 mg])
- ☐ Esilääkitys lääkärin määräyksen mukaisesti



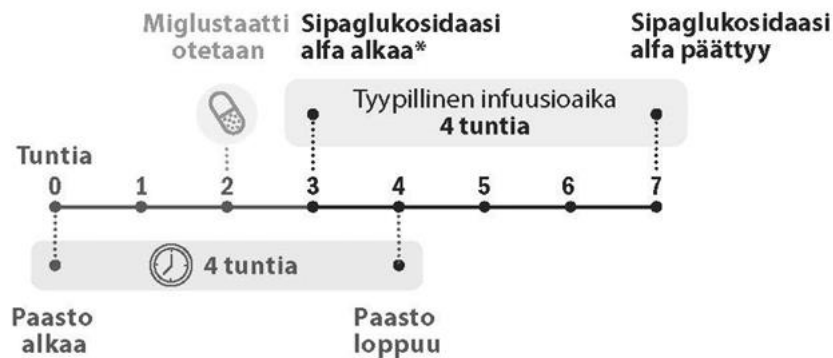
INFUUSIOTARVIKKEET JA -LAITTEET

- ☐ Steriiliä injektionesteisiin käytettävää vettä huoneenlämpötilassa 20-25 °C
- ☐ Injektionesteisiin käytettävä natriumkloridiliuos 9 mg/ml (0,9 %) huoneenlämpötilassa 20-25 °C - valitse pussin koko potilaan painon perusteella
- ☐ Neula, jonka läpimitta on enintään 18 G - Älä käytä suodatinneuloja, jotka vähentävät hiukkasia valmistelun aikana
- ☐ Lisätarvikkeet hoitolaitoksen protokollan mukaan

5.3

Aikataulu lääkkeen antoon, mukaan lukien miglustat-valmisteen anto

Sipaglukosidaasi alfa -valmistetta saa käyttää vain yhdessä miglustatin kanssa. Miglustatin käyttöä muiden GAA-entsyymikorvaushoidojen kanssa ei ole tutkittu.

Tältä infuusiopäivän pitäisi näyttää:

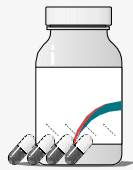
Jos potilas vaihtaa toisesta entsyymikorvaushoidosta sipaglukosidaasi alfa + miglustat -yhdistelmään, hoito yhdistelmällä voidaan aloittaa seuraavana aikataulun mukaisena antoaikana - eli noin 2 viikkoa viimeisimmän hoitokerran jälkeen. Potilaita, jotka ovat vaihtaneet toisesta entsyymikorvaushoidosta sipaglukosidaasi alfa + miglustat -yhdistelmään, on neuvottava jatkamaan aiemman entsyymikorvaushoidon kanssa mahdollisesti käytettyjen esilääkitysten käyttöä infuusioon liittyvien reaktioiden minimoimiseksi.

**TARKISTA VIELÄ KERRAN SEURAAVAT**

- Potilas on paastonnut 2 tuntia ennen miglustat-kapselien ottamista ja 2 tuntia niiden ottamisen jälkeen
- Potilas on ottanut miglustat-kapselit noin 1 tunti ennen infuusion aloittamista ja ettei miglustat-kapselien ottamisesta ole kulunut enemmän kuin 3 tuntia ennen infuusion aloittamista

(jatkuu)

5.3



MIGLUSTAT-KAPSELIEN OTTAMINEN

- Kapselit on otettava tyhjään mahaan.
- Potilaan on **paastottava 2 tuntia ennen miglustat-kapselien ottamista ja 2 tuntia sen jälkeen.**
- Kapselit tulee ottaa noin **1 tunti ennen sipaglukosidaasi alfa -infuusion aloittamista.**
 - Jos infuusio viivästyy, infuusion aloitusajankohta ei saa olla yli 3 tuntia miglustatin suun kautta antamisesta.
- Tämän 4 tunnin paaston aikana voi nauttia vettä, rasvatonta (lehmän) maitoa, ja kahvia tai teetä (ilman kermaa, sokeria tai makeutusaineita).
- Potilas voi syödä ja juoda normaalisti kaksi tuntia miglustatin ottamisen jälkeen

5.4

Sipaglukosidaasi alfa + miglustat -valmisteiden annostus perustuu kehonpainoon

Jos potilaan paino on muuttunut edellisen infuusion jälkeen tai jos et ole antanut sipaglukosidaasi alfa + miglustatiapotilaalle aiemmin, potilas on punnittava.

Delegointitapauksessa hoitavan lääkärin on päätettävä, miten painonmuutos vaikuttaa annostukseen. Lääkitysvirheiden välttämiseksi tarvittavan infuusiomäärän oikea määrittäminen on erittäin tärkeää, ja hoitavan lääkärin on määritettävä se etukäteen. Varmista hoitavalta lääkäriltä oikea annos ennen infuusion aloittamista.

Annoksen laskeminen

Sipaglukosidaasi alfa annetaan potilaalle joka toinen viikko infuusiona laskimoon yhdessä suun kautta otettavan miglustat-valmisteen kanssa.

**Painoon perustuva annostus**

Suosittelun annos: 20 mg/kg joka toinen viikko laskimoon annettavana infuusioliuoksena.

Miglustat 65 mg kapselit annetaan joka toinen viikko Pombiliti-laskimoinfuusion yhteydessä.

**Painoon perustuva annostus**

Suosittelun annos:

- yli 40 kg, mutta alle 50 kg = 3 kapselia
- yli 50 kg = 4 kapselia

	Laskeminen	Esimerkki
Annos	Potilaan paino (kg) x annos (20 mg/kg)	65 kg x 20 mg/kg = 1 300 mg kokonaisannos
Käyttökuntoon saatettavien injektiopullojen määrä	Potilaan annos (mg) jaettuna 105:llä (mg/injektiopullo)	1 300/105 mg injektiopulloa kohti = 12,38 injektiopulloa
Valmisteltavat injektiopullot	Pyöristä määrä seuraavaan kokonaiseen injektiopulloon	12,38 injektiopulloa → 13 injektiopulloa
Laske saatu tilavuus	Täysien injektiopullojen määrä x 7,0 ml / pullosta saatu tilavuus	12 injektiopulloa x 7,0 ml = 84 ml 0,38 injektiopulloa x 7,0 ml = 2,7 ml 84 ml + 2,7 ml = 86,7 ml saatu tilavuus

5.5

Käyttökuntoon saattamisen valmisteleminen

Ennen kuin sipaglukosidaasi alfaa voidaan antaa potilaalle, se on saatettava käyttökuntoon. Kun olet laskenut, kuinka monta injektiopulloa tarvitset, ota ne jääkaapista ja anna niiden lämmetä noin puolen tunnin ajan huoneenlämpötilaan (20-25 °C).



KÄYTTÖKUNTOON SAATTAMISEEN JA LAIMENTAMISEEN TARVITTAVAT VÄLINEET



Sipaglukosidaasi alfa 105 mg injektiopullot



Steriiliä injektionesteisiin käytettävää vettä huoneenlämmössä 20-25 °C



Natriumkloridiliuos 9 mg/ml (0,9 %) injektiota varten huoneenlämmössä 20-25 °C
- Valitse pussin koko potilaan painon mukaan



Neula, jonka läpimitta on enintään 18 G
- Älä käytä suodatinneuloja, jotka vähentävät hiukkasia valmistelun aikana

TARKASTA JOKAINEN INJEKTIOPULLO HUOLELLISESTI



Käyttökuntoon saatettuna näyttää opaalinhoitoiselta, värittömältä tai hieman keltaiselta liuokselta, jossa ei ole vierashiukkasia eikä käytännössä lainkaan valkoisia tai läpikuultavia hiukkasia.



Jos tarkastuksessa havaitaan vierasaineita tai jos liuoksessa on värimuutoksia, sitä ei saa käyttää.

5.6

Kylmäkuivatun jauheen käyttökuntoon saattaminen



1 Ota injektiopullot jääkaapista (2-8 °C) ja anna niiden lämmetä huoneenlämpöiseksi (eli noin 30 minuuttia 20-25 °C:n lämpötilassa).



2 Saata kunkin injektiopullon sisältö käyttökuntoon lisäämällä hitaasti 7,2 ml steriiliä injektiovettä pisaroina seinämää pitkin kylmäkuivattuun jauheeseen. Vältä steriilin injektionesteveden voimakasta osumista kylmäkuivattuun jauheeseen ja vaahtoamista.



3 Liuota jauhe varovasti kallistamalla ja pyörittämällä kutakin injektiopulloa. Älä käännä, pyöritä tai ravista. Kylmäkuivatun jauheen käyttökuntoon saattaminen kestää yleensä 2 minuuttia.



4 Tarkista käyttökuntoon saatetut injektiopullot liuoksessa olevien hiukkasten ja värjäytymisen varalta. Käyttökuntoon saatu liuos on väritöntä tai vaaleankeltaista, kirkasta tai läpikuultavaa liuosta, jossa voi näkyä hiukkasia ohuina valkoisina säikeinä tai läpikuultavina kuituina.

- Jos heti tarkastuksen jälkeen havaitaan vieraita aineksia tai liuos on värjäytynyt, älä käytä
- Jokaisen käyttökuntoon saatetun injektiopullon pitoisuuden tulisi olla 15 mg/ml ja saadun tilavuuden 7,0 ml.

5

Toista yllä olevat vaiheet laimennukseen tarvittavien injektiopullojen määrälle.

5.7

Liuoksen laimennus



1 Poista ilmatila infuusiopussista. Ota pois vastaava määrä injektionesteisiin käytettävää 9 mg/ml (0,9 %) natriumkloridiliuosta, joka korvataan käyttökontoon saatetun sipaglukosidaasi alfan kokonaistilavuudella (ml).



2 Vedä käyttökontoon saatettu liuos hitaasti injektiopulloista, kunnes potilaan annos saavutetaan Vältä vaahtoaamista ruiskussa. Hävitä kaikki viimeisessä injektiopullossa jäljellä oleva käyttökontoon saatettu liuos.



3 Injektoi käyttökontoon saatettu sipaglukosidaasi alfa -liuos hitaasti suoraan injektio pussin natriumkloridi 9 mg/ml (0,9 %) -liuokseen. Älä lisää sitä suoraan ilmatilaan, joka on saattanut jäädä infuusiopussiin.



4

- Käännä pussi varovasti ylösalaisin tai hiero varovasti pussia laimennetun liuoksen sekoittamiseksi.
- Älä ravista infuusiopussia voimakkaasti.
- Älä käytä pneumaattista letkua infuusiopussin kuljettamiseen.

Pombiliti tulee antaa valmisteyhteenvedon mukaisesti.



- Laskimoantosettiä on käytettävä proteiinia vähän sitovan 0,2 mikronin inline-suodattimen kanssa. Jos laskimoletku tukkeutuu infuusion aikana, vaihda suodatin.
- Jos infuusiota ei voida aloittaa laimennuksen jälkeen, laimennettu liuos on stabiili 24 tuntia säilytettynä jääkapissa 2-8°C:n lämpötilassa, jota seuraa 6 tuntia huoneenlämmössä 20-25°C:ssa infuusion mahdollistamiseksi. Säilytystä huoneenlämmössä ei suositella, katso valmisteyhteenvedo. Ei saa jäättyä

5.8

Infuusion anto



Infuusion voi nyt aloittaa
Infuusio kestää noin 4 tuntia.



1. Infuusioliuos on annettava huoneenlämpöisenä.
2. Infuusion kokonaismäärä määräytyy kehonpainon mukaan, ja se annetaan normaalisti noin 4 tunnin aikana.
3. Sipaglukosidaasi alfa- infuusio tulee aloittaa noin **1 tunnin kuluttua miglustatin suun kautta ottamisesta.**
4. Jos infuusio viivästyy, **infuusion aloitusajankohta ei saa olla yli 3 tuntia miglustatin suun kautta antamisesta.**
5. Infuusiota on annettava asteittain. On suositeltavaa, että infuusio aloitetaan aloitusnopeudella 1 mg/kg/h 30 minuutin ajan.
6. Infuusionopeutta nostetaan asteittain 2 mg/kg/h:lla 30 minuutin välein, jos merkkejä infuusion liittyvistä reaktioista ei ole, kunnes saavutetaan enimmäisnopeus 7 mg/kg/h.
7. Elimistön toiminnot on mitattava jokaisen vaiheen lopussa.

Suositellut infuusiutilavuudet ja -nopeudet

Potilaan paino (kg)	Kokonais-infuusiutilavuus (ml)	Vaihe 1 1 mg/kg/h (ml/h)	Vaihe 2 3 mg/kg/h (ml/h)	Vaihe 3 5 mg/kg/h (ml/h)	Vaihe 4 7 mg/kg/h (ml/h)
40-50	250	13	38	63	88
50,1-60	300	15	45	75	105
60,1-100	500	25	75	125	175
100,1-120	600	30	90	150	210
120,1-140	700	35	105	175	245
140,1-160	800	40	120	200	280
160,1-180	900	45	135	225	315
180,1-200	1000	50	150	250	350

Infuusion antonopeutta voidaan hidastaa tai infuusio voidaan keskeyttää tilapäisesti lievien tai keskivaikeiden infuusion liittyvien reaktioiden yhteydessä. Jos ilmenee vaikea allerginen reaktio tai anafylaksia, lopeta infuusio välittömästi ja aloita asianmukainen lääketieteellinen hoito.

Suosittelut infuusiokestot ja -arviointi

Vaihe (Infuusionopeus)	Kumulatiivinen aika (minuutteja)	Kliininen arviointi
Vaihe 1 (1 mg/kg/h ml/h))	0-30	Arvioi oireita ja merkkejä infuusioon liittyvistä reaktioista ja yliherkkyyssreaktioista (esim. hengitystiheys/pulssi/ihottuma ym.)
Vaihe 2 (3 mg/kg/h (ml/h))	30-60	Arvioi oireita ja merkkejä infuusioon liittyvistä reaktioista ja yliherkkyyssreaktioista (esim. hengitystiheys/pulssi/ihottuma ym.) Lisää annosta 2 mg:llä/kg/h (ml/h) jos siedetään
Vaihe 3 (5 mg/kg/h (ml/h))	60-90	Arvioi oireita ja merkkejä infuusioon liittyvistä reaktioista ja yliherkkyyssreaktioista (esim. hengitystiheys/pulssi/ihottuma ym.) Lisää annosta 2 mg:llä/ kg / h (ml/h) jos siedetään
Vaihe 4 (7 mg/kg/h (ml/h))	90-120	Arvioi oireita ja merkkejä infuusioon liittyvistä reaktioista ja yliherkkyyssreaktioista (esim. hengitystiheys/pulssi/ihottuma ym.) Lisää annosta 2 mg:llä/kg/h (ml/h) jos siedetään

6

LÄÄKITYSPOIKKEAMIEN, INFUUSIOON LIITTYVIEN REAKTIOIDEN JA YLIHERKKYYSREAKTIOIDEN TUNNISTAMINEN JA HOITO

Lääkityspoikkeamat

Lääkityspoikkeama on lääkehoitoon liittyvä tahaton virhe, joka johtaa tai voi johtaa potilaalle aiheutuvaan haittaan. Yleisimpiä ovat lääkkeen määrämiseen, toimitukseen, säilyttämiseen, käyttökuntoon saattamiseen ja antoon liittyvät virheet.

Helpottamaan infuusioon liittyvien reaktioiden ja yliherkkyyssreaktioiden tunnistamista ja hoitoa, hättävien vaikutusten voimakkuuden (vaikeuden) ja vakavuuden määrittelemiseen käytettäviä termejä on määritelty alla:

- Lievä hättävä vaikutus on sellainen, jonka potilas sietää helposti, aiheuttaa vain vähän epämukavuutta eikä häiritse päivittäisiä toimintoja.
- Keskivaikea hättävä vaikutus on sellainen, joka on riittävän epämiellyttävä häiritsemään normaalia arkea.
- Vaikea hättävä vaikutus on sellainen, joka estää normaalin arjen toiminnan.

Termiä ”vaikea” ei pidä sekoittaa termiin ”vakava”. ”Vaikeaa” käytetään kuvaamaan tietyn tapahtuman voimakkuutta (vaikeusastetta) (lievä, keskivaikea tai vaikea). Itse tapahtumalla voi kuitenkin olla melko vähäinen lääketieteellinen merkitys (kuten vaikea päänsärky).

Infuusioon liittyvät reaktiot ja yliherkkyyssreaktiot

Infuusioon liittyviä reaktioita (IAR) ja yliherkkyyssreaktioita tiedetään esiintyneen sipaglukosidaasi alfa -infuusion ja muiden entsyymikorvaushoitojen (ERT) aikana tai muutama tunti niiden jälkeen. Useimmat sipaglukosidaasi alfan yhteydessä raportoidut infuusioon liittyvät reaktiot olivat lieviä tai keskivaikeita ja ohimeneviä, ja niihin kuuluivat vatsan turvotus, vilunväristykset ja huimaus, makuaistin häiriöt (dysgeusia), hengenahdistus, punoitus, kutina, kuume ja ihottuma. Vaikeita infuusioon liittyviä reaktioita, kuten anafylaksiaa, on raportoitu myös sipaglukosidaasia alfaa saaneilla potilailla. Vaikeiden infuusioon liittyvien reaktioiden oireita voivat olla angioedeema, bronkospasmi, rintakipu, vilunväristykset, hengenahdistus, yleistynyt nokkosihottuma, hypotensio (heikotus, kalpeus), kurkunpään turvotus, pyörtäminen ja takykardia.

(jatkuu)

Infuusioon liittyvien reaktioiden hoito

Infuusionopeuden hidastamista, infuusion tilapäistä keskeyttämistä, oireenmukaista hoitoa suun kautta otettavilla antihistamiineilla tai kuumelääkkeillä ja asianmukaisia elvytystoimenpiteitä on harkittava infuusioon liittyvien reaktioiden hoitamiseksi. Vaikean infuusioon liittyvän reaktion ilmetessä infuusion antavan terveydenhuollon ammattilaisen / sairaanhoitajan on keskeytettävä infuusio välittömästi ja aloitettava asianmukainen lääketieteellinen hoito. Tämänhetkisiä anafylaktisten reaktioiden kiireelliseen hoitoon liittyviä lääketieteellisiä standardeja on noudatettava, ja kardiopulmonaalisen elvytyksen välineiden on oltava helposti saatavilla.

Anafylaksian tai vaikean infuusioon liittyvän reaktion jälkeen tapahtuvan sipaglukosidaasi alfan uudelleen antamisen riskit ja hyödyt on harkittava huolellisesti, ja jos potilas jatkaa hoitoa, seuraava infuusio on suoritettava kliinisessä hoitoympäristössä, jossa on varusteet tällaisten lääketieteellisten hätätilanteiden hoitoon.

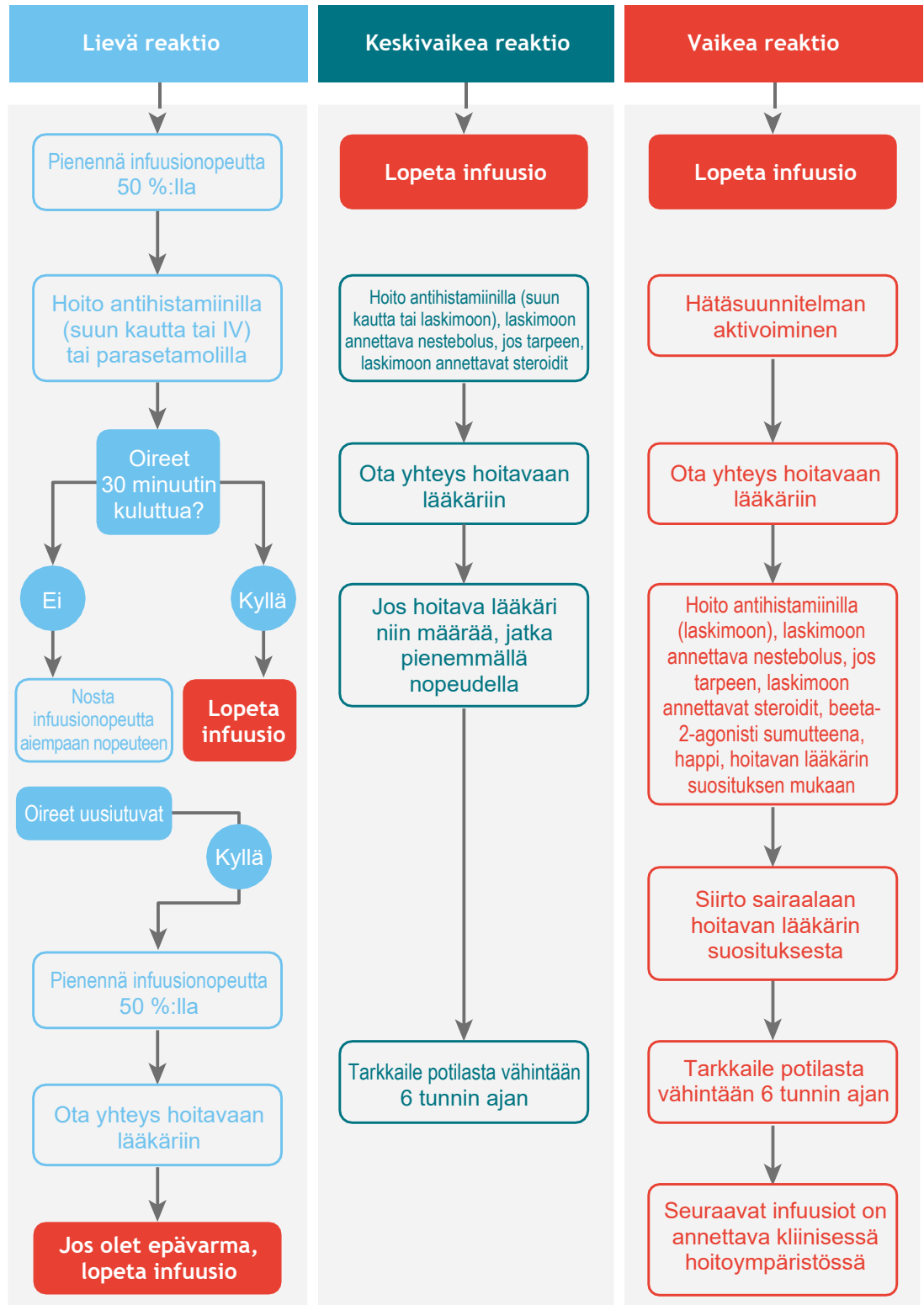


Seuraavalla sivulla olevassa kaaviossa on suosituksia siitä, miten toimia infuusioon liittyvän reaktion ilmetessä.

Vuokaaviossa annetut hoitosuosituksukset ovat vain ehdotuksia. Hoitava lääkäri tekee lopullisen päätöksen hoidosta hätätilanteen hoitosuunnitelmassa. Varmista, että olet heti valmis elvytykseen ennen infuusion aloittamista.

Kirjaa infuusiopäiväkirjaan kaikki tiedot koskien aikoja, haittavaikutuksia, lääkkeitä ja infuusionopeuksia.

6



Katso myös ajantasainen valmisteyhteenvedo, jossa on kattavat tiedot sipaglukosidaasi alfan turvallisuudesta. Se on saatavana osoitteessa

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/pombiliti>

7

TURVALLISUUSRAPORTTI

On tärkeää ilmoittaa myyntiluvan myöntämisen jälkeisistä lääkevalmisteen epäillyistä haittavaikutuksista. Se mahdollistaa lääkevalmisteen hyöty-haittatasapainon jatkuvan arvioinnin.



Hoitavan lääkärin tai koti-infuusiota hoitavan terveydenhuollon ammattilaisen/hoitajan on ilmoitettava kaikista epäillyistä haittavaikutuksista Amicus Therapeuticsille:

Puhelin: (+358) 0800 917 780

Vaihtoehtoisesti voit lähettää sähköpostia osoitteeseen drugsafety@amicusrx.com.

Jos potilas tai häntä hoitava henkilö huomaa, että lääkkeen valmistelussa ja/tai antamisessa on tehty virhe, potilaan tai infuusion antavan terveydenhuollon ammattilaisen / sairaanhoitajan on ilmoitettava asiasta hoitavalle lääkärille asianmukaisten toimenpiteiden määrittämiseksi.



Hoitavan lääkärin tai infuusion antavan terveydenhuollon ammattilaisen / sairaanhoitajan tulee ilmoittaa kaikista lääketysvirheistä välittömästi Amicus Therapeuticsille:

Puhelin: (+358) 0800 917 780

Vaihtoehtoisesti voit lähettää sähköpostia osoitteeseen drugsafety@amicusrx.com.

Pompen taudin rekisteri



Terveydenhuollon ammattilaisia pyydetään harkitsemaan potilaiden rekisteröimistä Amicus Pompen taudin rekisteriin sähköpostitse: MedInfo@amicusrx.com.

8

LISÄTIETOA

Katso sipaglukosidaasi alfan ja miglustatin valmisteyhteenvedoista kattavat tiedot sipaglukosidaasi alfan turvallisuudesta ja hyväksytystä käytöstä yhdessä miglustaatin kanssa.



Katso sipaglukosidaasi alfan ja miglustatin valmisteyhteenvedoista kattavat tiedot sipaglukosidaasi alfan turvallisuudesta ja hyväksytystä käytöstä yhdessä miglustaatin kanssa. Sipaglukosidaasi alfan valmisteyhteenvedo ja miglustatin valmisteyhteenvedo ovat saatavilla EMA:n verkkosivuilla

- sipaglukosidaasi alfa
www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/Pombiliti
- miglustat
www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/Opfolda

Vaihtoehtoisesti lääkemääräystiedot voi pyytää Amicus Therapeuticsilta **puh. (+358) 0800 917 780**.