


HJEMMEBEHANDLING MED INFUSIONER AF POMBILITI (CIPAGLUCOSIDASE ALFA)

En vejledning til sundheds- personer om risikominimering I forbindelse med infusioner af cipaglucosidase alfa

VERSION 1.0

Konsultér også ordinationsoplysningerne til læger og sundhedspersoner for Pombiliti (cipaglucosidase alfa) 

 Dette lægemiddel er underlagt supplerende overvågning. Dermed kan nye sikkerhedsoplysninger hurtigt tilvejebringes. Sundhedspersoner anmodes om at indberette alle formodede bivirkninger. Se, hvordan bivirkninger indberettes, på side 24.

INDHOLDSFORTEGNELSE

1	Indhold og formål	3
2	Vurdering af egnethed til hjemmeinfusion	4
3	Krav til og tilrettelæggelse af hjemmeinfusion	
	3.1 Patient	5
	3.2 Behandlende læge	6
	3.3 Infusionssygeplejerske/sundhedsperson	8
	3.4 Undersøgelse af patienten før administration af hjemmeinfusionen	10
	3.5 Forbehandling og akutbehandling	10
	3.6 Infusionsdagbog	11
4	Procedure for hjemmeinfusion	12
5	Klargøring og administration af cipagluco­sidase alfa	
	5.1 Ordination	13
	5.2 Forsyninger	13
	5.3 Tidslinje for administration, herunder administration af Opfolda	14
	5.4 Nyttige oplysninger om dosering	16
	5.5 Klargøring til rekonstitution	17
	5.6 Rekonstitution	18
	5.7 Fortynding	19
	5.8 Administration af infusionen	20
6	Genkendelse og håndtering af infusionsrelaterede reaktioner og overfølsomhedsreaktioner	21
7	Sikkerhedsrapportering	24
8	Yderligere oplysninger	25

1

INDHOLD OG FORMÅL

Infusioner af Pombiliti (cipaglucosidase alfa) i kombination med Opfolda (miglustat) er en tilgængelig behandling for patienter med Pompes sygdom. For at forbedre patientens komfort og livskvalitet kan den intravenøse behandling administreres i patientens hjem, hvis visse specifikke krav kan opfyldes.

Om denne vejledning

Formålet med denne vejledning til læger og sundhedspersoner er at minimere risikoen for medicineringsfejl i forbindelse med administration af Pombiliti i hjemmet og at give klare retningslinjer for følgende:

- **Hvilke patienter, der kan være egnede til hjemmeinfusion, og hvordan hjemmeinfusioner tilrettelægges, herunder præmedicinering og akutbehandling af infusionsreaktioner.**
- **Klargøring, rekonstitution og administration af produktet i hjemmet.**
- **Genkendelse og håndtering af bivirkninger, herunder infusionsrelaterede reaktioner (IAR'er), og mulige handlinger til håndtering af bivirkninger, når symptomerne opstår.**

Hjemmeinfusionen sker under den behandlende læges ansvar. Undervisningsmaterialet til patienter bør kun udleveres, hvis den behandlende læge beslutter, at patienten er egnet til hjemmeinfusionsbehandling.

Processerne i dette dokument fungerer som en generel vejledning, men er underlagt lokal medicinsk praksis og nationale regler og bestemmelser.

2

VURDERING AF EGNETHED TIL HJEMMEINFUSION

Beslutningen om at lade en patient overgå til hjemmeinfusion skal træffes efter vurdering og anbefaling fra den behandlende læge.

En patients underliggende komorbiditeter og evne til at overholde kravene til hjemmeinfusion skal tages i betragtning ved vurdering af patientens egnethed til hjemmeinfusioner. Før der træffes nogen aftaler, skal den behandlende læge afgøre, om patienten opfylder følgende primære kriterier for hjemmeinfusion:

(SE OGSÅ ORDINATIONSOPLYSNINGERNE)

- **Patienten tolererer sine infusioner godt og har ikke haft moderate eller svære IAR'er inden for de sidste par måneder.**
- Patienten har fået infusioner med cipaglucosidase alfa under opsyn af en læge med ekspertise i behandling af patienter med Pompes sygdom i et par måneder på et hospital eller en klinik. Dokumentation for et mønster med veltolererede infusioner uden IAR'er eller med milde IAR'er, som er blevet kontrolleret med præmedicinering, er en forudsætning for påbegyndelse af hjemmeinfusioner.
- Patienten betragtes som værende medicinsk stabil. Der skal gennemføres en omfattende evaluering, før hjemmeinfusioner påbegyndes.
- Patienten har en anamnese med overholdelse af den ordinerede doseringsplan og fastkravene i relation til miglustat.
- Patienten er villig og i stand til at overholde hjemmeinfusionsprocedurerne.

3

KRAV TIL OG TILRETTELÆGGELSE AF HJEMMEINFUSION

3.1

Patient

GENERELT

- Patienten og/eller dennes omsorgsperson(er) **er blevet informeret af den behandlende læge om den behandling, der skal gives i hjemmet, de risici, der er i forbindelse med behandling i hjemmet** (f.eks. overfølsomhedsreaktioner, IAR'er og medicineringsfejl), og skal acceptere behandlingen i hjemmet.
- Patienten og/eller dennes **omsorgsperson(er) har kendskab til sygdommen og er i stand til at genkende bivirkninger som overfølsomhedsreaktioner og IAR'er** og forstår den procedure, der skal følges, hvis sådanne bivirkninger opstår.
- **Hjemmemiljøet skal være egnet til hjemmeinfusionsbehandling** og omfatte et rent miljø med elektricitet, vand, telefonadgang, køleskab og fysisk plads til opbevaring af miglustat, infusionsmaterialer og -udstyr.
- Patienten og/eller dennes omsorgsperson(er) **forstår, at cipaglucosidase alfa altid skal gives i kombination med miglustat**, og at miglustat altid skal tages 1 time før cipaglucosidase alfa-infusionen.
- Patienten er blevet **informeret om, at infusionen administreres af en sygeplejerske eller en anden sundhedsperson**.
- **Patienter, der oplever bivirkninger (eller patientens omsorgsperson), skal straks informere hjemmeinfusionssygeplejersken/sundhedspersonen eller kontakte den behandlende læge**. Det kan være nødvendigt at give efterfølgende infusioner på et hospital eller i et andet medicinsk miljø.

MEDICINSK

- Patienten skal **være fysisk og psykisk** i stand til at få infusionerne i hjemmet.
- Patienten har **vene adgang eller et centralt venekateter**, der muliggør adækvat infusion.

3.1

(fortsat)

Patienter med akut underliggende respiratorisk sygdom eller kompromitteret hjerte- og/eller respirationsfunktion

Patienter med akut underliggende respiratorisk sygdom eller kompromitteret hjerte- og/eller respirationsfunktion kan have risiko for alvorlig forværring af deres hjerte- eller respirationsfunktion under infusioner. Passende foranstaltninger til medicinsk støtte og monitorering skal være til umiddelbar rådighed under infusion af cipaglucosidase alfa.

Patienter med særlig risiko for infusionsrelaterede reaktioner omfatter:

- Patienter med akut sygdom på tidspunktet for infusionen. Dette skal drøftes med den behandlende læge før påbegyndelse af infusionen, og yderligere monitorering af patienten i en længere periode kan være nødvendig.
- Patienter med fremskreden Pompes sygdom og nedsat hjerte- og respirationsfunktion. Sådanne patienter kan have behov for genoplivningstiltag under infusionen. Der skal træffes passende foranstaltninger til medicinsk støtte og monitorering i overensstemmelse med lægens oplysninger.
- Patienter med risiko for volumenoverbelastning (f.eks. kompromitteret hjerte- og/eller respirationsfunktion). Disse patienter har risiko for infusionsrelateret volumenoverbelastning, der kan føre til en alvorlig forværring af deres hjerte- eller respirationstilstand op til hjerte-lungesvigt. Passende foranstaltninger til medicinsk støtte og monitorering skal være til rådighed under infusionen, som anvist af lægen, og nogle patienter skal muligvis monitoreres i en længere periode, som anvist af lægen.

3.2

Behandlende læge

- **Hjemmeinfusionen sker under den behandlende læges ansvar.** Undervisningsmaterialet bør kun udleveres til infusionspersonalet og patienten/ omsorgsperson(er), hvis den behandlende læge beslutter, at patienten er egnet til hjemmeinfusionsbehandling. Det påhviler den behandlende læge at **sørge for sikker administration til patienten for at undgå risici for medicineringsfejl og IAR'er, herunder overfølsomhedsreaktioner og anafylaktiske reaktioner.** Dette skal kontrolleres og dokumenteres af den behandlende læge.

3.2

(fortsat)

- Den behandlende læge **beslutter, om** administrationen i hjemmet skal uddelegeres til en infusionssygeplejerske/sundhedsperson, og **hvis en sådan uddelegering finder sted, udarbejdes der en sikker plan for administrationen af lægemidlet og al nødvendig patientmonitorering, præmedicinering og akutbehandling.**

Hvis administrationen af lægemidlet uddelegeres, er det den behandlende læges ansvar at:

- Oplære og informere sundhedspersoner/sygeplejersker (eller sikre, at de er tilstrækkeligt kvalificerede) og patienter og/eller omsorgspersoner.
 - Fastlægge den korrekte dosis og infusionshastighed for cipaglucosidase alfa.
 - Udarbejde en individuel nødplan med præcise instruktioner og kontaktmuligheder.
 - Identificere de nødvendige infusionsmaterialer og passende præmedicinering og akutmedicin.
 - Informere sundhedspersoner/sygeplejersker om passende dosering, infusionshastighed og handlinger og om, at den individuelt udarbejdede nødplan ikke må ændres uden udtrykkelige instruktioner fra den behandlende læge.
 - Eventuelle ændringer skal kommunikeres tydeligt til patienten og/eller dennes omsorgsperson(er) og til den sundhedsperson, der superviserer klargøringen og indgivelsen af cipaglucosidase alfa. Det anbefales, at den behandlende læge dokumenterer alle disse foranstaltninger og implementeringen deraf i infusionsdagbogen.
- Den behandlende læge er ansvarlig for **at iværksætte alle de administrative handlinger**, der er nødvendige for, at de øvrige involverede parter (patient og/eller omsorgsperson(er), infusionssygeplejerske/sundhedsperson, apotekspersonale) kan fortsætte.
 - Den behandlende læge er **ansvarlig for at udlevere “Vejledning til patienter med Pompes sygdom, der får infusioner af cipaglucosidase alfa i hjemmet”, som inkluderer infusionsdagbogen.** Den infusionshastighed af cipaglucosidase alfa, som blev tolereret af patienten i mere kontrollerede omgivelser (f.eks. på hospitalet eller i andre medicinske omgivelser), må ikke ændres i hjemmet, medmindre det er nødvendigt af sikkerhedsmæssige hensyn. Eventuelle ændringer i administrationen af cipaglucosidase alfa skal tydeligt dokumenteres i infusionsdagbogen.

3.2

(fortsat)

- Hvis der blev givet præmedicinering på hospitalet eller et andet medicinsk miljø (f.eks. antihistaminer, antipyretika og/eller kortikosteroider), skal sådanne lægemidler stilles til rådighed **på baggrund af den patientspecifikke ordination og beskrives i infusionsdagbogen**. Denne behandling må ikke ændres i hjemmet, medmindre det efter den behandlende læges skøn er medicinsk berettiget.
- Akutbehandling skal stilles til rådighed **på baggrund af den patientspecifikke ordination og beskrives i infusionsdagbogen**.
- Den behandlende læge skal **sikre, at infusionssygeplejersken/sundhedspersonen har adgang til en hurtig og pålidelig kommunikationslinje**, hvis den hjemmebehandlede patient oplever en IAR, og der skal søges lægehjælp.
- **Den behandlende læge er ansvarlig for regelmæssig sygdomsmonitorering af den hjemmebehandlede patient.**
- **Den behandlende læge og infusionssygeplejersken/sundhedspersonen er ansvarlige for passende planlægning og monitorering af infusionerne.**



Den behandlende læge skal i samarbejde med infusionssygeplejersken/sundhedspersonen indberette alle formodede bivirkninger til www.meldenbivirkning.dk

3.3

Infusionssygeplejerske/sundhedsperson

- Infusionssygeplejersken/sundhedspersonen vil have en **koordinerende rolle** i forhold til den behandlende læge og patienten og/eller dennes omsorgsperson(er) i forbindelse med tilrettelæggelsen af hjemmebehandlingen og klarlægger i samarbejde med den behandlende læge, patienten og eller denne omsorgsperson(er) hvilket niveau af støtte, der er nødvendigt i hjemmet.
- Er i **tæt kontakt med den behandlende læge** i henhold til den udarbejdede aftale og informerer jævnligt lægen om behandlingsforløbet.
- Infusionssygeplejersken/sundhedspersonen er **kvalificeret til at give intravenøse infusioner, er blevet korrekt oplært i administration af cipaglucosidase alfa i kombination med miglustat og er blevet oplyst om de mulige bivirkninger** (herunder alvorlige bivirkninger såsom anafylaktoide reaktioner) **og de handlinger, der skal iværksættes**, hvis sådanne opstår.

3.3

(fortsat)

- Infusionssygeplejersken/sundhedspersonen **følger nøje den anviste metode til klargøring og administration** af cipagluco­sidase alfa i kombination med miglustat, som anført i denne vejledning og ordinationsoplysningerne.
- Infusionssygeplejersken/sundhedspersonen **følger nøje den anviste dosis og infusionshastighed** af cipagluco­sidase alfa, som angivet i infusionsdagbogen.
- **Den behandlende læge og infusionssygeplejersken/sundhedspersonen** er ansvarlige for passende planlægning og monitorering af infusionerne.
- Infusionssygeplejersken/sundhedspersonen **registrerer hver indgivelse** af cipagluco­sidase alfa i infusionsdagbogen.
- Infusionssygeplejersken/sundhedspersonen er **til rådighed på alle tidspunkter under hjemmeinfusionen og i et angivet tidsrum efter infusionen**, afhængigt af patientens tolerance før påbegyndelse af hjemmeinfusioner.
- **Det er infusionssygeplejersken/sundhedspersonens ansvar at sørge for passende behandling af IAR'er, herunder reduktion af infusionshastigheden, midlertidig afbrydelse af infusionen, symptomatisk behandling med orale antihistaminer eller antipyretika samt passende genoplivningstiltag.**
Se yderligere vejledning i afsnit 6.
- Infusionssygeplejersken/sundhedspersonen **dokumenterer hver infusion og beskriver patientens medicinske tilstand før og efter infusionen, doseringen, infusionshastigheden, eventuelle bivirkninger/nødsituationer og behandlingen deraf.**
- Enhver **IAR, herunder overfølsomhedsreaktioner og anafylaktiske reaktioner**, skal registreres i infusionsdagbogen.
- Infusionssygeplejersken/sundhedspersonen **konsulterer den behandlende læge med hensyn til tilbagevenden til administration på et hospital/en klinik** ved efterfølgende infusioner.

→ **Den behandlende læge skal i samarbejde med infusionssygeplejersken/sundhedspersonen indberette alle formodede bivirkninger til www.meldenbivirkning.dk**

3.4

Undersøgelse af patienten før indgivelse af hjemmeinfusionen

Inden infusionen af cipaglucosidase alfa administreres, skal det fastslås, om patienten er egnet til infusion. Patienten skal være i god almentilstand og have det godt i betragtning af den individuelle sygdomsstatus. Tilstedeværelse af akut og febril sygdom skal udelukkes. Patienten skal spørges, om der opstod bivirkninger i forbindelse med den foregående infusion (dvs. efter at infusionssygeplejersken/sundhedspersonen havde forladt patientens hjem). Blodtryk, puls, respirationsfrekvens og legemstemperatur skal kontrolleres regelmæssigt i begyndelsen og også under infusionen, især før en eventuel øgning af infusionshastigheden. I tilfælde af tilstødende sygdom eller nyligt rapporterede bivirkninger i forbindelse med den foregående infusion skal den behandlende læge konsulteres, før infusionen påbegyndes.

3.5

Forbehandling og akutbehandling

- **Der kan administreres præmedicinering med orale antihistaminer, antipyretika og/eller kortikosteroider som en hjælp ved tegn og symptomer relateret til IAR'er. Der skal gives passende forbehandling baseret på den patientspecifikke ordination.** Behandling, der administreres på hospitalet eller i andre medicinske omgivelser, må ikke ændres i hjemmet, medmindre det efter den behandlende læges skøn er medicinsk berettiget.
- Der skal være lægemidler til rådighed, der om nødvendigt kan anvendes i en nødsituation. Den behandlende læge skal give infusionssygeplejersken/sundhedspersonen tilstrækkelig undervisning i brugen af akutlægemidler.
- **Hvis patienten oplever en IAR, skal passende behandling overvejes, herunder reduktion af infusionshastigheden, midlertidig afbrydelse af infusionen, symptomatisk behandling med orale antihistaminer eller antipyretika samt passende genoplivningstiltag.** Afsnit 6 indeholder retningslinjer for behandling af IAR'er. Listen over IAR-symptomer er dog ikke udtømmende og er ment som en vejledning til infusionssygeplejersker/sundhedspersoner i den initiale håndtering af IAR'er, herunder anafylaksi. Det er op til den behandlende læge at beslutte, om disse retningslinjer skal følges, eller om institutionens sædvanlige behandlingsprotokol skal implementeres.
- **Hvis patienten oplever anafylaksi eller en svær allergisk reaktion** under eller kort tid efter infusionen, **skal infusionen straks stoppes, og passende medicinsk behandling skal påbegyndes.** Hvis patienten fortsætter behandlingen, skal de næste infusioner **finde sted på et hospital** eller i et andet medicinsk miljø, der er udstyret til at håndtere sådanne medicinske nødsituationer.

3.6

Infusionsdagbogen

- Infusionsdagbogen fungerer som et **kommunikationsmiddel for alle, der er involveret** i administration af cipagluco­sidase alfa i kombination med miglustat i hjemmet.
- Infusionssygeplejersken/sundhedspersonen **registrerer resultaterne og handlingerne** fra den første infusion og alle relevante oplysninger fra efterfølgende infusioner i infusionsdagbogen.
- **Der skal udfyldes en nødkontaktliste**, som skal være tilgængelig i hjemmet i infusionsdagbogen for patienten og/eller dennes omsorgsperson(er) og infusionssygeplejersken/sundhedspersonen.
- Infusionsdagbogen **skal opbevares i patientens hjem** og ajourføres af infusionssygeplejersken/sundhedspersonen og/eller patienten/dennes omsorgsperson(er) hver gang, der gives cipagluco­sidase alfa.
- Patient/omsorgspersonen **skal tage infusionsdagbogen med til alle aftaler** på hospitalet/klinikken og tage den med hjem bagefter.
- I infusionsdagbogen **angiver den behandlende læge tydeligt dosis, nødvendigt rekonstitueret volumen, infusionshastighed samt eventuelle ændringer.**
- Den behandlende læge angiver tydeligt, hvad der skal gøres, hvilke **præmedicineringer der skal administreres, og hvilke lægemidler der skal administreres i tilfælde af en alvorlig IAR** i overensstemmelse med gældende medicinske standarder for akutbehandling.
- **Kontakt­oplysninger til den behandlende læge** og det landespecifikke nationale nødopkaldsnummer noteres i infusionsdagbogen.

4

PROCEDURE FOR HJEMMEINFUSION

Den behandlende læge er ansvarlig for tilrettelæggelsen af hjemmeinfusioner og skal godkende hjemmeinfusionsproceduren og sikre, at infusionssygeplejersken/sundhedspersonen er tilstrækkeligt kvalificeret.

Infusionssygeplejersken/sundhedspersonen udfører hele infusionsproceduren i patientens hjem. Infusionssygeplejersken/sundhedspersonen er til rådighed på alle tidspunkter under hjemmeinfusionen og i et angivet tidsrum efter infusionen, afhængigt af patientens tolerance før påbegyndelse af hjemmeinfusioner.

De klargørings-/administrationsprocedurer, der er beskrevet i **afsnit 5** i dette dokument, skal overholdes, og hver administration af cipagluco­sidase alfa skal registreres i infusionsdagbogen (**afsnit 3.6**). I tilfælde af problemer med rekonstitutionen og administrationen af cipagluco­sidase alfa skal infusionssygeplejersken/sundhedspersonen rådføre sig med den behandlende læge for at bestemme, hvad der skal gøres, før infusionen genoptages eller fortsættes.

Hvis patienten føler, at behandlingen ikke er effektiv, skal vedkommende kontakte den behandlende læge.

5

KLARGØRING OG ADMINISTRATION AF CIPAGLUCOSIDASE ALFA

Brugsanvisning vedrørende rekonstitution, fortynding og administration kan findes i produktresuméet.

Produktresuméet er tilgængeligt online på <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/Pombiliti>

5.1

Ordination

Miglustat-dosis, cipaglucosidase alfa-dosis, nødvendig rekonstitueret volumen, infusionshastighed, præmedicinering, akutmedicin samt eventuelle ændringer bestemmes af den behandlende læge og noteres i infusionsdagbogen. Eventuelle ændringer i denne ordination skal registreres i infusionsdagbogen.

Da cipaglucosidase alfa administreres i en vægtjusteret dosis, er det vigtigt at kontrollere patientens vægt regelmæssigt for at sikre korrekt dosering. I tilfælde af uddelegering skal den behandlende læge afgøre, hvordan doseringen skal håndteres i tilfælde af en vægtændring. For at undgå medicineringsfejl er det meget vigtigt, at den nødvendige infusionsvolumen bestemmes korrekt. Dette skal gøres på forhånd af den behandlende læge.

5.2

Forsyninger

TJEKLISTE TIL BEHANDLINGSDAG



PRODUKTER

- Pombiliti 105 mg hætteglas** (20 mg/kg legemsvægt administreret hver anden uge)
- Opfolda kapsler** (til patienter ≥ 50 kg: 4 kapsler [260 mg i alt]; til patienter ≥ 40 kg til < 50 kg: 3 kapsler [195 mg i alt])
- Præmedicinering som ordineret



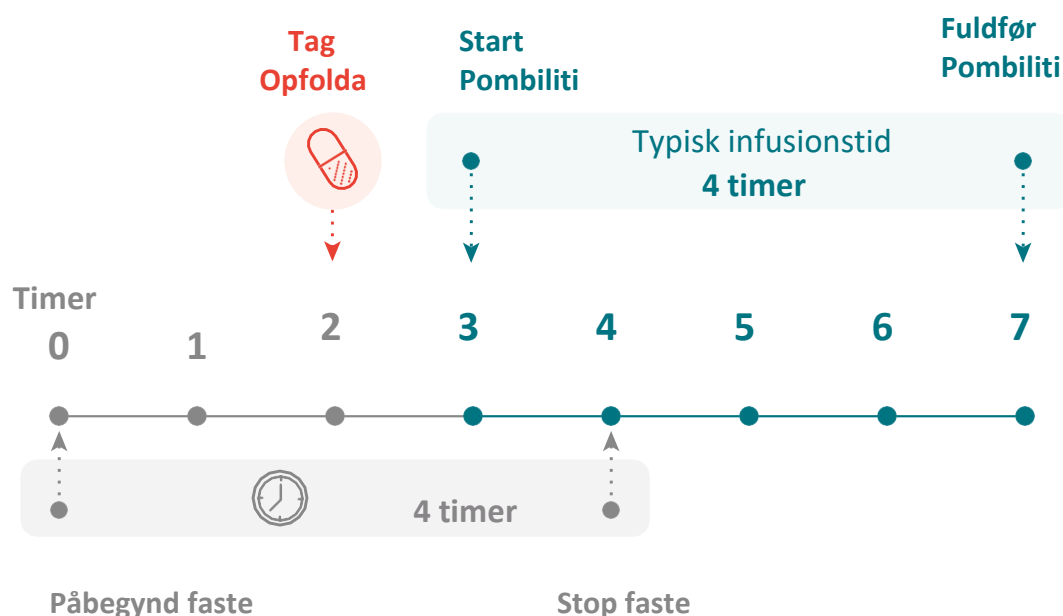
INFUSIONSMATERIALER OG UDSTYR

- Sterilt vand** til injektionsvæsker ved stuetemperatur på 20 °C til 25 °C
- Natriumchlorid 9 mg/ml (0,9 %) injektionsvæske, opløsning** ved stuetemperatur på 20 °C til 25 °C – Vælg posestørrelse på baggrund af patientens legemsvægt
- En kanyle med en diameter på 18 gauge eller mindre** – Brug ikke filterkanyler, der reducerer partikler, under klargøringen
- Yderligere forsyninger** i henhold til institutionens protokol

5.3

Tidslinje for administration, herunder administration af Opfolda

Pombiliti må kun administreres sammen med Opfolda. Brug af Opfolda sammen med andre GAA-enzymersatningsterapier er ikke blevet undersøgt.

Sådan skal infusionsdagen forløbe:

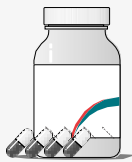
Hvis patienten skifter fra en anden enzymersatningsterapi (ERT), kan behandlingen med Pombiliti + Opfolda påbegyndes på det næste planlagte doseringstidspunkt – 2 uger efter den foregående behandling. Patienter, der har skiftet fra en anden ERT til behandling med Pombiliti + Opfolda, skal rådes til at fortsætte med enhver præmedicinering, der blev anvendt med den tidligere behandling, for at minimere infusionsrelaterede reaktioner (IAR'er).

**DOBBELTTJEK FØLGENDE:**

- Patienten har taget Opfolda kapslerne ca. 1 time før det planlagte starttidspunkt for infusionen
- Patienten har fastet i 2 timer før og 2 timer efter indtagelse af Opfolda

5.3

(fortsat)

**SÅDAN TAGES OPFOLDA**

- Kapslerne skal tages på tom mave
- Patienten skal **faste 2 timer før og 2 timer efter indtagelse af Opfolda**
- Kapslerne skal tages ca. **1 time før påbegyndelse af Pombiliti-infusionen**
 - I tilfælde af forsinkelse af infusionen bør infusionen ikke startes mere end 3 timer efter oral administration af Opfolda.
- Kapslerne skal synkes med vand, fedtfri (skummet) komælk eller te eller kaffe uden fløde, sukker og sødemidler. Disse drikkevarer kan indtages i den 4-timers fasteperiode.
- To timer efter indtagelse af Opfolda kan patienten genoptage normal indtagelse af mad og drikke.

5.4

Doseringen af både Pombiliti + Opfolda er baseret på legemsvægt

Hvis patientens vægt har ændret sig siden sidste infusion, eller hvis du ikke har givet patienten Pombiliti + Opfolda før, skal du veje patienten.

Beregning af dosis

Pombiliti administreres til patienten via intravenøs infusion hver anden uge sammen med det orale lægemiddel Opfolda.



Vægtbaseret dosering

Anbefalet dosering: 20 mg/kg total legemsvægt administreret hver anden uge som en intravenøs opløsning

Opfolda kapsler på 65 mg administreres hver anden uge sammen med den intravenøse infusion af Pombiliti.



Vægtbaseret dosering

Anbefalet dosering:

- ≥ 40 kg men < 50 kg = 3 kapsler
- ≥ 50 kg = 4 kapsler

	Beregning	Eksempel						
Dosis	Patientens legemsvægt (kg) x dosis (20 mg/kg)	65 kg x 20 mg/kg = 1300 mg total dosis						
Hætteglas, der skal rekonstitueres	Patientens dosis (i mg) divideret med 105 (mg/hætteglas)	$1300/105$ mg pr. hætteglas = 12,38 hætteglas 12,38 hætteglas → 13 hætteglas						
Hætteglas, der skal klargøres	Rund op til nærmeste hele hætteglas							
Beregning af ekstraktionsvolumen	Antal fulde hætteglas x 7,0 ml/ flaske ekstraktionsvolumen	<table border="0"> <tr> <td>12 hætteglas x 7,0 ml =</td> <td>0,38 hætteglas x 7,0 ml =</td> </tr> <tr> <td>84 ml</td> <td>2,7 ml</td> </tr> <tr> <td colspan="2" style="text-align: center;">84 ml + 2,7 ml = 86,7 ml ekstraktionsvolumen</td> </tr> </table>	12 hætteglas x 7,0 ml =	0,38 hætteglas x 7,0 ml =	84 ml	2,7 ml	84 ml + 2,7 ml = 86,7 ml ekstraktionsvolumen	
12 hætteglas x 7,0 ml =	0,38 hætteglas x 7,0 ml =							
84 ml	2,7 ml							
84 ml + 2,7 ml = 86,7 ml ekstraktionsvolumen								

5.5

Klargøring til rekonstitution

Før Pombiliti kan administreres til patienten, skal det rekonstitueres. Når du ved, hvor mange hætteglas du skal bruge, skal du tage dem ud af køleskabet og lade dem stå i ca. en halv time for at opnå stuetemperatur på 20 °C til 25 °C.



NØDVENDIGE TING TIL REKONSTITUTION OG FORTYNDING



Pombiliti 105 mg hætteglas



Sterilt vand til injektionsvæsker ved stuetemperatur på 20 °C til 25 °C



Natriumchlorid 9 mg/ml (0,9 %) injektionsvæske, opløsning ved stuetemperatur på 20 °C til 25 °C
– Vælg posestørrelse på baggrund af patientens legemsvægt



En kanyle med en diameter på 18 gauge eller mindre
– Brug ikke filterkanyler, der reducerer partikler, under klargøringen

EFTERSE OMHYGGELIGT HVERT HÆTTEGLAS



Klar til opaliserende, farveløs til let gullig og næsten partikelfri, men kan indeholde hvide til halvgennemsigtige partikler.



Må ikke anvendes, hvis der observeres fremmedlegemer eller misfarvning.

5.6

Rekonstitution af frysetørret kage/pulver



1 Tag hætteglassene ud af køleskabet (2 °C til 8 °C), og lad dem opnå stuetemperatur (dvs. ca. 30 minutter ved 20 °C til 25 °C).



2 Hvert hætteglas rekonstrueres ved langsomt og dråbevist at tilsætte 7,2 ml sterilt vand til injektionsvæsker til den frysetørrede kage eller pulveret. Undgå, at det sterile vand rammer det frysetørrede pulver med en kraftig stråle, og undgå skumdannelse.



3 Vip og rul forsigtigt hvert hætteglas for at opløse pulveret. Vend, sving eller ryst ikke hætteglassene. Rekonstitution af det frysetørrede pulver tager typisk 2 minutter.



4 Kontrollér de rekonstituerede hætteglas for partikler og misfarvning. Den rekonstituerede volumen fremstår som en farveløs til lysegul opløsning, klar til opaliserende og næsten fri for partikler, men kan indeholde hvide til halvgennemsigtige partikler.

- Hvis der observeres fremmedlegemer ved umiddelbart eftersyn, eller hvis opløsningen er misfarvet, må den ikke bruges.
- Hvert rekonstitueret hætteglas skal give en koncentration på 15 mg/ml med en ekstraherbar volumen på 7,0 ml.

5

Gentag ovenstående trin for det antal hætteglas, der skal bruges til fortynding.

5.7

Fortyndning af opløsningen



1 Fjern luftrummet i infusionsposen. Fjern en mængde natriumchlorid 9 mg/ml (0,9 %) injektionsvæske, opløsning svarende til den totale volumen (ml) af rekonstitueret Pombiliti, der skal erstatte den.



2 Træk langsomt den rekonstituerede opløsning ud af hætteglassene, indtil patientens dosis er nået. Undgå skumdannelse i sprøjten. Kassér eventuel resterende rekonstitueret opløsning i det sidste hætteglas.



3 Injicer langsomt rekonstitueret Pombiliti direkte ind i natriumchlorid 9 mg/ml (0,9 %) injektionsvæske, opløsning i posen. Injicér ikke direkte ind i det luftrum, der kan være tilbage i infusionsposen.



- Vend eller massér forsigtigt posen for at blande den fortyndede opløsning.
- Infusionsposen må ikke rystes eller udsættes for voldsomme bevægelser.
- Brug ikke rørpost til at transportere infusionsposen.

Pombiliti skal administreres som angivet i produktresuméet.



- Der skal anvendes et intravenøst administrationsæt med et in-line-filter med lav proteinbinding på 0,2 mikron. Udskift filteret, hvis den intravenøse slange blokerer under infusionen.
- Hvis øjeblikkelig brug ikke er mulig, kan den rekonstituerede og fortyndede opløsning opbevares i op til 24 timer i køleskab ved 2° – 8 °C efterfulgt af 6 timer ved stuetemperatur (op til 25°) for at muliggøre infusion.

5.8

Administration af infusionen



Nu er du klar til at påbegynde infusionen.

Infusionen tager ca. 4 timer.



1. Infusionsopløsningen skal administreres ved stuetemperatur.
2. Den totale infusionsvolumen bestemmes af kropsvægten og administreres typisk over ca. 4 timer.
3. Infusionen af Pombiliti bør starte ca. **1 time efter oral administration af Opfolda.**
4. I tilfælde af forsinkelse af infusionen **bør infusionen ikke startes mere end 3 timer efter oral administration af Opfolda.**
5. Den indledende infusionshastighed må ikke være mere end 1 mg pr. kg pr. time i 30 minutter.
6. Infusionshastigheden kan øges med 2 mg pr. kg pr. time hvert 30. minut, efter at patientens tolerance over for infusionshastigheden er etableret, indtil en maksimal hastighed på 7 mg pr. kg pr. time er nået.
7. Vitalparametre skal måles ved afslutningen af hvert trin.

Anbefalede infusionsvoluminer og -hastigheder

Patientens vægtinterval (kg)	Total infusionsvolumen (ml)	Trin 1 1 mg/kg/t (ml/t)	Trin 2 1 mg/kg/t (ml/t)	Trin 3 1 mg/kg/t (ml/t)	Trin 4 1 mg/kg/t (ml/t)
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

I tilfælde af milde til moderate IAR'er kan infusionshastigheden nedsættes, eller infusionen stoppes midlertidigt. I tilfælde af en svær allergisk reaktion eller anafylaksi skal infusionen straks standses, og passende medicinsk behandling iværksættes.

GENKENDELSE OG HÅNDBLING AF INFUSIONSRELATEREDE REAKTIONER OG OVERFØLSOMHEDSREAKTIONER

Det er relevant at kende de termer, der bruges til at definere intensiteten (sværhedsgraden) og alvorligheden af en bivirkning.

Generelt er en mild bivirkning en bivirkning, som let tolereres af patienten, giver minimalt ubehag og ikke forstyrrer dagligdags aktiviteter. En moderat bivirkning er en bivirkning, der er tilstrækkelig generende til at forstyrre normale dagligdags aktiviteter. En svær bivirkning er en bivirkning, der forhindrer normale dagligdags aktiviteter. Udtrykket "svær" må ikke forveksles med "alvorlig". "Svær" bruges til at beskrive intensiteten (sværhedsgraden) af en specifik hændelse (mild, moderat eller svær). Selve hændelsen kan dog være af relativt mindre medicinsk betydning (såsom svær hovedpine).

Alvorlighed (ikke sværhedsgrad) er baseret på patient-/hændelsesudfald eller handlingskriterier (f.eks. hospitalsindlæggelse) og bruges til at definere regulatoriske rapporteringsforpligtelser. En alvorlig bivirkning er en bivirkning, der resulterer i død, er livstruende, kræver hospitalsindlæggelse eller forlængelse af eksisterende hospitalsindlæggelse, resulterer i vedvarende eller signifikant invaliditet eller uarbejdsdygtighed eller udgør en medfødt anomali/misdannelse.

Livstruende henviser i denne sammenhæng til en bivirkning, hvor patienten var i livsfare på tidspunktet for reaktionen; det henviser ikke til en reaktion, der hypotetisk kunne have forårsaget døden, hvis den var mere alvorlig.

Der skal foretages en medicinsk og videnskabelig vurdering af, om andre situationer skal betragtes som alvorlige, f.eks. vigtige medicinske hændelser, der måske ikke er umiddelbart livstruende eller resulterer i dødsfald eller hospitalsindlæggelse, men som kan bringe patienten i fare eller eventuelt kræve indgreb for at forhindre et af de udfald, der er anført i definitionen ovenfor.

Der er set infusionsrelaterede reaktioner (IAR'er) og overfølsomhedsreaktioner under eller op til et par timer efter infusion af cipaglucosidase alfa og andre enzymerstatningsterapier (ERT'er). De fleste IAR'er, der er blevet indberettet med cipaglucosidase alfa, var af mild eller moderat sværhedsgrad og forbigående og omfattede udspilning af maven, kulderystelser, svimmelhed, dysgeusi, dyspnø, rødmen, pruritus, pyreksi og udslæt. Der er også rapporteret om svære IAR'er, såsom anafylaksi, hos patienter i behandling med cipaglucosidase alfa. Symptomerne på svære IAR'er kan omfatte angioødem, bronkospasme, brystmerter, kulderystelser, dyspnø, generaliseret nældefeber, hypotension (besvimelsesfornemmelse, blegthed), larynxødem, synkope og takykardi.

6

(fortsat)

Reduktion af infusionshastigheden, midlertidig afbrydelse af infusionen, symptomatisk behandling med orale antihistaminer eller antipyretika og passende genoplivningsforanstaltninger skal overvejes for at håndtere IAR'er. I tilfælde af en svær IAR skal infusionssygeplejersken/sundhedspersonen straks afbryde infusionen og påbegynde passende medicinsk behandling. De gældende medicinske standarder for akut behandling af anafylaktiske reaktioner skal overholdes, og hjertelungeredningsudstyr skal være umiddelbart tilgængeligt.

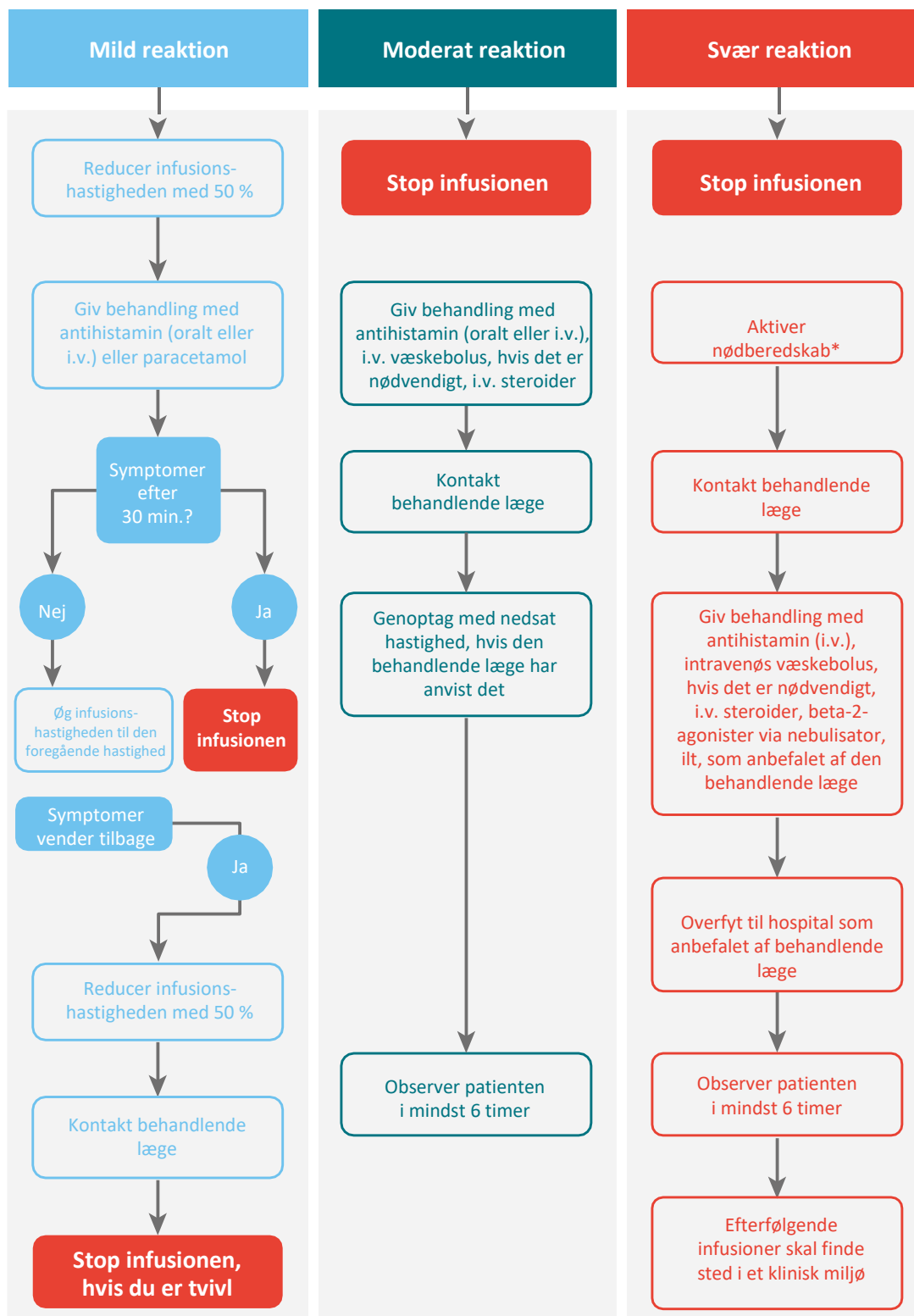
Risiciene og fordelene ved at administrere cipaglucoosidase alfa igen efter anafylaksi eller en svær infusionsreaktion skal overvejes nøje, og hvis patienten fortsætter behandlingen, skal den næste infusion finde sted i et klinisk miljø, der er udstyret til at håndtere sådanne medicinske nødsituationer.



Flowdiagrammet på næste side indeholder anbefalinger til, hvordan du skal forholde dig i tilfælde af en IAR.

De behandlingsanbefalinger, der er angivet i flowdiagrammet, er kun et forslag. Den behandlende læge træffer den endelige beslutning om behandling i nødplanen. Sørg for, at der er gjort klar til genoplivning, inden infusionen påbegyndes.

Registrer alle oplysninger om tidspunkter, bivirkninger, lægemidler og infusionshastigheder i infusionsdagbogen.



* Intramuskulært adrenalin kan gives i henhold til kliniske retningslinjer

Se desuden det senest godkendte produktresumé for komplette oplysninger om sikkerheden af cipaglucosidase alfa, som kan findes på <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/pombiliti>

7

SIKKERHEDSRAPPORTERING

Når lægemidlet er godkendt, er indberetning af formodede bivirkninger vigtig. Det muliggør løbende overvågning af benefit/risk-forholdet for lægemidlet.

- Den behandlende læge eller infusions sygeplejersken/sundhedspersonen skal indberette alle formodede bivirkninger til www.meldenbivirkning.dk

Hvis patienten eller omsorgspersonen bliver opmærksom på, at der er sket en fejl under klargøringen og/eller indgivelsen af lægemidlet, skal patienten eller infusions sygeplejersken/sundhedspersonen informere den behandlende læge for at beslutte, hvad der skal gøres.

8

YDERLIGERE OPLYSNINGER

Der henvises til ordinationsoplysningerne for Pombiliti og Opfolda vedrørende komplette oplysninger om sikkerhed og godkendt brug af cipaglucosidase alfa i kombination med miglustat.



Produktresuméerne for Pombiliti og Opfolda findes på EMA's hjemmeside

www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/Pombiliti

www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/Opfolda

Alternativt kan ordinationsoplysningerne rekvireres hos Amicus Therapeutics på **tlf.: (+45) 80 253 262**.

HJEMMEBEHANDLING MED INFUSIONER AF CIPAGLUCOSIDASE ALFA

Vejledning til patienter med Pompes sygdom, der får infusioner af cipaglucosidase alfa i hjemmet

VERSION 1.0

Nogle personer kan få bivirkninger, når de tager dette lægemiddel. Hvis du oplever bivirkninger, bør du tale med lægen, apotekspersonalet eller en anden sundhedsperson. Det gælder også bivirkninger, som ikke er nævnt i denne vejledning. Du kan også hjælpe med at sikre, at lægemidler forbliver så sikre som muligt, ved at indberette alle bivirkninger via internettet på www.meldenbivirkning.dk.

VIGTIGT

Denne patientvejledning indeholder vigtige sikkerhedsoplysninger, som du skal være opmærksom på, når du er i behandling med cipaglucosidase alfa/miglustat. Læs hele vejledningen omhyggeligt, før du påbegynder hjemmeinfusion.

**Opbevar vejledningen på et let tilgængeligt sted.
Du kan få brug for at læse den igen.**

- Spørg den behandlende læge, hvis der er mere, du vil vide.
- Lægen har ordineret dette lægemiddel til dig personligt. Lad derfor være med at give lægemidlet til andre. Det kan være skadeligt for andre, selvom de har de samme symptomer, som du har.
- Hvis du oplever bivirkninger, skal du og/eller din omsorgsperson underrette den behandlende læge eller infusionssygeplejersken.
- For yderligere oplysninger henvises til indlægssedlen, der følger med lægemidlet og er tilgængelig online på: indlaegsseddel.dk

INDHOLDSFORTEGNELSE

1

Din sygdom, behandling og hjemmeinfusion

1.1	Pompes sygdom og behandling	4
1.2	Hjemmeinfusion	5
1.3	Sikkerhedsvurderinger (bivirkninger og medicineringsfejl)	6
1.4	Indberetning af bivirkninger	6

2

Tilrettelæggelse af hjemmebehandling

2.1	Patient	7
2.2	Behandelende læge	8
2.3	Infusionssygeplejerske/sundhedsperson	8
2.4	Forbehandling og akutbehandling	9
2.5	Infusionsdagbog	9

3

Oplæring i klargøring og indgivelse af cipagluco- sidase alfa 11

4

Sådan indgives cipagluco- sidase alfa 12

5

Infusionsdagbog til hjemmeinfusion af cipagluco- sidase alfa 14

1

DIN SYGDOM, BEHANDLING OG HJEMMEINFUSION

Sammen med din behandlende læge har du besluttet at påbegynde infusionsbehandling med cipaglucosidase alfa i hjemmet. Formålet med dette dokument er at vejlede dig i, hvordan du får cipaglucosidase alfa derhjemme.

Processerne i dette dokument fungerer som en generel vejledning, men er underlagt lokal medicinsk praksis og nationale regler og bestemmelser. Din behandlende læge vil give dig de oplysninger, der er relevante for din situation.

1.1

Pompes sygdom og behandling

Hvis du har Pompes sygdom, betyder det, at et bestemt enzym i kroppen ikke fungerer korrekt. Enzymer er en type proteiner, der er ansvarlige for at udføre en række forskellige opgaver i kroppen. Mange af dem medvirker til at nedbryde produkter i dine celler. Et af disse enzymer er α -glucosidase (også kaldet GAA), som har til opgave at nedbryde et stof, der kaldes glykogen. Det er dette enzym, der er påvirket ved Pompes sygdom.

Når enzymet ikke fungerer korrekt, sker der en ophobning af glykogen i cellerne, hvilket forårsager skader på kroppen, især musklerne. Glykogen giver kroppen energi. Hvis glykogen ikke nedbrydes ordentligt og ophobes, kan det gradvist forårsage skade på muskelcellerne. Dette kan påvirke din styrke og vejrtrækning.

Pompes sygdom behandles normalt ved at give en infusion af enzymerstatningsterapi (ERT), så glykogen ikke får lov til at ophobe sig i dine celler. ERT fungerer ved at erstatte det ikke-fungerende eller manglende GAA med fungerende GAA. Cipaglucosidase alfa er en ny ERT – det erstatter det mangelfulde enzym ved Pompes sygdom. Det indgives via en infusion og retter sig specifikt mod cellerne i dine muskler. Miglustat er en kapsel, som du skal sluge, før du får intravenøs cipaglucosidase alfa. Dette er med til at sikre, at ERT'en når frem til musklerne, så den kan hjælpe med at fjerne ophobningen af glykogen.

Der henvises til indlægssedlen for cipaglucosidase alfa og miglustat for yderligere oplysninger.

1.2

Hjemmeinfusion

Personer, der lider af Pompes sygdom og er i behandling med cipaglucosidase alfa, kan have mulighed for at få infusionerne i hjemmet.

- **Beslutningen om at modtage hjemmebehandling skal træffes af dig og din behandlende læge efter de første infusioner på hospitalet for at sikre, at du ikke har nogen problemer med infusionen. Din læge vil typisk sikre, at du tåler infusionerne godt på hospitalet eller klinikken i et par måneder, før han/hun beslutter, om du er egnet til hjemmeinfusion.**

Hjemmeinfusion af cipaglucosidase alfa vil gøre det muligt for dig at få behandling i dit eget hjemlige miljø, hvilket er mere bekvemt og giver bedre fleksibilitet i forhold til infusions-tidspunkter. Du skal ikke bruge tid på at komme til og fra hospitalet, og hjemmeinfusioner kan også gøre det nemmere at få behandling, mens du er omgivet af familie og venner.

- **Hjemmeinfusionerne vil foregå under ledelse af din behandlende læge og vil blive givet af en uddannet sundhedsperson/sygeplejerske, som vil overvåge dig under og efter hver infusion.**

→ **Bemærk! Infusionsdosen og -hastigheden i forbindelse med hjemmebehandling skal følge de retningslinjer, som din behandlende læge har angivet i infusionsdagbogen, og må ikke ændres uden forudgående aftale med den behandlende læge og tilsyn af infusionssygeplejersken/sundhedspersonen.**

1.3

Sikkerhedsvurderinger (bivirkninger og medicineringsfejl)

Dette lægemiddel kan som alle andre lægemidler give bivirkninger, men ikke alle får bivirkninger. I kliniske studier blev der primært set bivirkninger, mens patienterne fik lægemidlet, eller kort tid derefter ("infusionsrelaterede reaktioner"). De fleste infusionsrelaterede reaktioner var milde eller moderate. Nogle af disse infusionsrelaterede bivirkninger kan blive alvorlige og livstruende.

- **Symptomerne på alvorlige eller livstruende infusionsrelaterede reaktioner omfatter:**

vejrtrækningsbesvær, oppustethed, feber, kulderystelser, svimmelhed, rødme i huden, kløende hud og udslæt

- **Symptomerne på alvorlige eller livstruende allergiske reaktioner omfatter:**

udslæt, hævede øjne, længerevarende vejrtrækningsbesvær, hoste, hævelse af læber, tunge eller svælg, kløende hud og nældefeber

1.3

(fortsat)

Lægen kan beslutte at nedsætte infusionshastigheden eller give dig yderligere lægemidler for at forhindre, at sådanne reaktioner opstår igen.

→ **Alle bivirkninger, der er indberettet for cipagluco­sidase alfa, er anført i indlægssedlen.**

- Hvis du føler dig utilpas på grund af lægemidlet under hjemmeinfusionen eller kort tid efter infusionen, skal du bede den person, der giver dig hjemmeinfusionen, om at stoppe indgivelsen af lægemidlet med det samme. Den behandlende læge, dennes medicinske stedfortræder eller alarmcentralen (se instruktionerne i infusionsdagbogen) skal straks kontaktes. Det kan være nødvendigt, at du får de efterfølgende infusioner på et hospital eller en klinik, indtil den ordinerende læge har sikret sig, at du tåler infusionerne godt.
- Hvis du af andre årsager føler dig utilpas (f.eks. har en forkølelse eller influenzalignende sygdom), skal du informere lægen eller hjemmeinfusions­sygeplejersken. Det kan være nødvendigt at ændre din infusionsplan, hvis du på anden måde føler dig utilpas.
- Eventuelle symptomer eller bivirkninger skal også registreres i infusionsdagbogen.

Hvis du bliver opmærksom på, at der er sket en fejl under klargøringen og/eller indgivelsen af cipagluco­sidase alfa, skal du informere infusionssygeplejersken/ sundhedspersonen eller den behandlende læge, så de kan træffe passende foranstaltninger før opstart eller fortsættelse af infusionen. Hvis du føler, at behandlingen ikke er effektiv, skal du kontakte din behandlende læge.

1.4

Indberetning af bivirkninger

Nogle personer kan få bivirkninger, når de tager disse lægemidler. Hvis du oplever bivirkninger, bør du tale med lægen, infusionssygeplejersken eller en anden sundheds­person. Dette gælder også mulige bivirkninger, som ikke er medtaget i indlægssedlen.

→ **Du kan også hjælpe med at sikre, at lægemidler forbliver så sikre som muligt, ved at indberette eventuelle bivirkninger. Du kan også indberette bivirkninger direkte via <http://www.meldenbivirkning.dk>**

2

TILRETTELÆGGELSE AF HJEMMEBEHANDLING

Behandlingen i hjemmet skal tilrettelægges under den behandlende læges tilsyn. Den behandlende læge er ansvarlig for tilrettelæggelsen af hjemmeinfusioner. Processerne i dette dokument fungerer som en generel vejledning, men er underlagt lokal medicinsk praksis og nationale regler og bestemmelser.

2.1

Patient

- Du og/eller din(e) omsorgsperson(er) er blevet informeret af den behandlende læge om den behandling, der skal gives i hjemmet, de dermed forbundne risici, de mulige komplikationer og ydelsen af medicinsk assistance i hjemmet.
- Du og/eller din(e) omsorgsperson(er) er bekendte med Pompes sygdom og er i stand til at genkende bivirkninger og forstå de procedurer, der skal følges, hvis de skulle opstå.
- Hjemmemiljøet skal være egnet til hjemmeinfusionsbehandling og omfatte et rent miljø med elektricitet, vand, telefonadgang, køleskab og fysisk plads til opbevaring af infusionsmaterialer.
- Du er blevet informeret om, at infusionen altid skal gives under tilstedeværelse af en voksen med relevant uddannelse (infusionssygeplejerske/sundhedsperson).
- Du skal være fysisk og psykisk i stand til at få infusionerne hjemme. Den behandlende læge er ansvarlig for at afgøre, om du kan få infusioner med cipagluco­sidase alfa i hjemmet.
- Dine blodårer er let tilgængelige, så det er muligt at indføre en infusionskany­le, eller du har et centralt venekateter
- Du og/eller din(e) omsorgsperson(er) skal indvillige i, at du får behandlingen hjemme.

2.2

Behandelnde læge

- Den behandelnde læge er **ansvarlig for at fastlægge dosen, infusionshastigheden, præmedicineringen og akutbehandlingen**, som skal beskrives i infusionsdagbogen. Eventuelle ændringer skal meddeles tydeligt til patienten og/eller dennes omsorgsperson(er) og beskrives i infusionsdagbogen.
- **Hjemmeinfusionen sker under den behandelnde læges ansvar**. Du får udleveret dette undervisningsmateriale, hvis den behandelnde læge beslutter, at du er egnet til hjemmeinfusionsbehandling.
- Den behandelnde læge er **ansvarlig for at etablere kommunikationslinjer** i tilfælde af behov for øjeblikkelig lægehjælp. Dette skal beskrives i infusionsdagbogen.
- **Den behandelnde læge er ansvarlig for passende planlægning og monitorering af infusionerne** i samarbejde med infusionssygeplejersken/sundhedspersonen.

2.3

Infusionssygeplejerske/sundhedsperson

- Infusionssygeplejersken/sundhedspersonen vil have en **koordinerende opgave** sammen med den behandelnde læge og dig og/eller din(e) omsorgsperson(er) i forbindelse med tilrettelæggelsen af hjemmebehandlingen.
- Infusionssygeplejersken/sundhedspersonen er **kvalificeret til at give intravenøse (i.v.) infusioner**.
- Infusionssygeplejersken/sundhedspersonen er blevet **oplært i at indgive cipaglucosidase alfa**.
- Infusionssygeplejersken/sundhedspersonen er **bekendt med de mulige bivirkninger** (herunder alvorlige allergiske reaktioner) og de handlinger, der skal iværksættes, hvis de opstår.
- Infusionssygeplejersken/sundhedspersonen skal **nøje følge den anviste metode til klargøring og indgivelse** af cipaglucosidase alfa, som angivet i vejledningen til sundhedspersoner.
- Infusionssygeplejersken/sundhedspersonen skal **nøje følge den anviste dosis og infusionshastighed** af cipaglucosidase alfa, som angivet i vejledningen til sundhedspersoner.

2.3

(fortsat)

- Infusionssygeplejersken/sundhedspersonen skal **registrere hver indgivelse** af cipaglucosidase alfa i infusionsdagbogen.
- Den behandlende læge og infusionssygeplejersken/sundhedspersonen er **ansvarlig for passende planlægning og monitorering af infusionerne.**

2.4**Forbehandling og akutbehandling**

- Om nødvendigt vil den behandlende læge ordinere medicin til forbehandling. Den behandlende læge vil inkludere oplysninger om denne medicin i infusionsdagbogen.
- Den behandlende læge vil ordinere medicin, der om nødvendigt kan anvendes i en nødsituation. Den behandlende læge vil inkludere oplysninger om denne medicin i infusionsdagbogen. Denne akutmedicin skal være tilgængelig under infusionerne i hjemmet.

2.5**Infusionsdagbog**

- Din læge har udleveret en infusionsdagbog til dig. Den fungerer som et kommunikationsmiddel for alle, der er involveret i indgivelsen af cipaglucosidase alfa i hjemmet.
- Infusionsdagbogen skal opbevares i dit hjem og holdes ajour af dig, din(e) omsorgsperson(er), din behandlende læge og/eller infusionssygeplejersken/sundhedspersonen.
- Den ordinerede dosis og infusionshastighed af cipaglucosidase alfa, der er anført i infusionsdagbogen, skal nøje følges. Den behandlende læge er ansvarlig for at anføre dosen og infusionshastigheden samt eventuelle ændringer.
- Hver administration af cipaglucosidase alfa i hjemmet skal registreres i infusionsdagbogen.
- Du og/eller din(e) omsorgsperson(er) skal tage infusionsdagbogen med til alle kontrolbesøg på hospitalet og tage den med hjem bagefter.

2.5

(fortsat)

- Infusionssygeplejersken/sundhedspersonen noterer resultaterne og handlingerne fra den indledende samtale, og du, din(e) omsorgsperson(er) eller infusionssygeplejersken/sundhedspersonen noterer alle relevante oplysninger fra efterfølgende besøg i infusionsdagbogen.
- I infusionsdagbogen anfører den behandlende læge tydeligt, hvad der skal gøres og indgives i tilfælde af en infusionsbivirkning. I tilfælde af en reaktion på en infusion skal infusionen stoppes.
- Eventuelle infusionsrelaterede bivirkninger og/eller medicineringsfejl skal registreres i infusionsdagbogen.

3

OPLÆRING I KLARGØRING OG INDGIVELSE AF CIPAGLUCOSIDASE ALFA

De første instruktioner gives på hospitalet. Niveaue af nødvendig støtte til hjemmeinfusionerne vil blive drøftet og aftalt med dig og/eller din(e) omsorgsperson(er) og din behandlende læge.

- Den behandlende læge er ansvarlig for tilrettelæggelsen af hjemmeinfusioner og skal godkende hjemmeinfusionsproceduren.
- Hver indgivelse af cipaglucosidase alfa skal registreres i infusionsdagbogen.
- Infusionen skal altid indgives under tilstedeværelse af en voksen, der er bekendt med infusionsprocedurerne og tilstrækkeligt oplært i, hvad der skal gøres i tilfælde af en infusionsrelateret reaktion eller medicineringsfejl (som vurderet af den behandlende læge eller infusionssygeplejersken/sundhedspersonen).

4

SÅDAN INDGIVES CIPAGLUCOSIDASE ALFA

4.1

Hvordan indgives cipaglucosidase alfa og miglustat?

HVAD SKER DER VED DEN ENKELTE BEHANDLING?

- Du vil få udleveret et vist antal kapsler med 65 mg miglustat på baggrund af på din kropsvægt. Lægen eller sundhedspersonen vil fortælle dig, hvor mange kapsler du skal tage, eller give dig kapslerne inden hver infusion af cipaglucosidase alfa. Kapslerne skal tages ca. en time før infusionen af cipaglucosidase alfa.

FASTE

- For at sikre, at miglustat (stabilisatoren) fungerer korrekt, er det meget vigtigt, at du faster i to timer før og to timer efter indtagelse af miglustat og ikke indtager mad i fire timer i alt. Du må kun drikke vand, kulsyreholdigt vand, te eller kaffe uden mælk og sukker. Kapslerne skal synkes hele. De må ikke deles, knuses eller tygges.

INFUSION

- Cirka en time efter, at du har taget miglustat-kapslerne, påbegyndes infusionen af cipaglucosidase alfa. Du får cipaglucosidase alfa af en læge eller sygeplejerske. Det gives gennem et drop i en vene i din arm eller port. Dette kaldes en 'intravenøs infusion'.
- Infusionen tager ca. fire timer. Infusionshastigheden er langsom i starten og øges derefter gradvist. Din infusion og det udstyr, der bruges til at give den til dig, bliver beskyttet mod lys.
- Når hele infusion er blevet givet, bliver slangen gennemskyllet for at sikre, at du har fået det hele.
- Kontakt lægen eller dit sundhedsteam, hvis du har spørgsmål vedrørende infusionen.

4.1

Figur 1. Tidsplan for dosering

**HVOR MEGET CIPAGLUCOSIDASE ALFA GIVES DER?**

- Den mængde medicin, som du får, er baseret på din vægt. Den anbefalede dosis er 20 mg for hvert kg kropsvægt.

HVORNÅR GIVES CIPAGLUCOSIDASE ALFA?

- Du vil blive behandlet med cipaglucosidase alfa én gang hver anden uge.

HVAD SKAL JEG GØRE, HVIS JEG HAR TAGET MIN DOSIS AF MIGLUSTAT PÅ DET FORKERTE TIDSPUNKT?

- Kontakt lægen, hvis du har taget dine miglustat-kapsler på det forkerte tidspunkt. Infusionen kan udsættes i op til tre timer fra det tidspunkt, hvor du tog dine miglustat-kapsler.

HVAD SKAL JEG GØRE, HVIS JEG HAR TAGET FOR MANGE MIGLUSTAT-KAPSLER?

- Hvis du ved et uheld har taget flere kapsler, end du har fået ordineret, kan du have en øget risiko for at få bivirkninger af dette lægemiddel. Kontakt lægen med det samme, eller tag på hospitalet.

HVAD SKAL JEG GØRE, HVIS EN DOSIS CIPAGLUCOSIDASE ALFA BLIVER GLEMT?

- Kontakt straks lægen, hvis du er forhindret i at få infusionen på det planlagte starttidspunkt, eller hvis en dosis er blevet glemt.

DIN INFUSIONSDAGBOG TIL hjemmeinfusion af cipaglucosidase alfa

Nogle personer kan få bivirkninger, når de tager dette lægemiddel. Hvis du oplever bivirkninger, bør du tale med lægen, apoteks-
personalet eller en anden sundhedsperson. Det gælder også bivirkninger, som ikke er nævnt i denne vejledning. Du kan også hjælpe
med at sikre, at lægemidler forbliver så sikre som muligt, ved at indberette alle bivirkninger via internettet på www.meldenbivirkning.dk.

OPLYSNINGER OM INDGIVELSE (UDFYLDES AF DEN BEHANDLENDE LÆGE)	
Dato for første indgivelse	
Første infusion i hjemmet	

DOSERINGSREGIME FOR CIPAGLUCOSIDASE ALFA/MIGLUSTAT	
Miglustat-dosis	
Cipagluco­sidase alfa-dosis	
Hyppighed	
Infusionshastighed	
Nødvendig rekonstitueret volumen (ml)	
Total volumen i infusionspose (ml)	
Præmedicinering (hvis relevant)	
Årsager til cipagluco­sidase alfa-infusion i hjemmet	
Resultater og handlinger fra den indledende samtale	
Angiv hvilken støtte, der skal ydes af infusionssygeplejersken/ sundhedspersonen i hjemmet	

NØDVENDIGE HANDLINGER I TILFÆLDE AF EN SVÆR INFUSIONS-RELATERET REAKTION ELLER OVERFØLSOMHEDSREAKTION

(UDFYLDES AF DEN BEHANDLENDE LÆGE)

1

STOP infusionen

2

Ring til alarmcentralen

3

Ring til den behandlende læge

Telefonnummer

Døgntelefon

Lægens navn

Klinikkens navn

Total volumen i infusionspose (ml)

Adresse

4

Akutmedicin

Medicin, herunder dosis

5

Patientens kontaktperson skal underrettes

Navn:

Telefon:

UDFYLD DENNE FORMULAR VED HVER INFUSION

Patienten og/eller dennes omsorgsperson(er) er blevet informeret om de risici, der er i forbindelse med hjemmeinfusion af cipagluco­sidase alfa, og der er blevet givet korrekt undervisning i brugen af akutmedicin. I tilfælde af en infusionsrelateret reaktion skal infusionen straks afbrydes. Nødvendige handlinger i tilfælde af en svær infusionsrelateret reaktion, herunder nødkontakt­oplysninger, er beskrevet i denne infusionsdagbog. Sørg for, at disse oplysninger er let tilgængelige under infusionsproceduren.

Dato for første indgivelse	
Første infusion i hjemmet	

INFUSION	
Dato for infusionen	
Infusionssygeplejerske/sundhedsperson	
Omsorgsperson, hvis til stede	

DOSIS	
Miglustat-dosis	
Tidspunkt for miglustat-dosis	
Cipagluco­sidase alfa-dosis	
Patientens vægt (kg)	
Batch-/lotnummer for cipagluco­sidase alfa	
Tidspunkt for påbegyndelse af cipagluco­sidase alfa-infusion	
Nødvendig rekonstitueret volumen (ml)	
Antal anvendte hætteglas	
Infusionsvarighed	
Infusions­hastighed(er)	

Eventuelle problemer/bemærkninger vedrørende infusionen (herunder infusionsrelaterede reaktion(er), iværksatte handlinger og udfald):

Angiv hvilken støtte, der skal ydes af infusionssygeplejersken/sundhedspersonen i hjemmet:

UDFYLD DENNE FORMULAR VED HVER INFUSION

Patienten og/eller dennes omsorgsperson(er) er blevet informeret om de risici, der er i forbindelse med hjemmeinfusion af cipagluco­sidase alfa, og der er blevet givet korrekt undervisning i brugen af akutmedicin. I tilfælde af en infusionsrelateret reaktion skal infusionen straks afbrydes. Nødvendige handlinger i tilfælde af en svær infusionsrelateret reaktion, herunder nødkontakt­oplysninger, er beskrevet i denne infusionsdagbog. Sørg for, at disse oplysninger er let tilgængelige under infusionsproceduren.

Dato for første indgivelse	
Første infusion i hjemmet	

INFUSION	
Dato for infusionen	
Infusionssygeplejerske/sundhedsperson	
Omsorgsperson, hvis til stede	

DOSIS	
Miglustat-dosis	
Tidspunkt for miglustat-dosis	
Cipagluco­sidase alfa-dosis	
Patientens vægt (kg)	
Batch-/lotnummer for cipagluco­sidase alfa	
Tidspunkt for påbegyndelse af cipagluco­sidase alfa-infusion	
Nødvendig rekonstitueret volumen (ml)	
Antal anvendte hætteglas	
Infusionsvarighed:	
Infusions­hastighed(er)	

Eventuelle problemer/bemærkninger vedrørende infusionen (herunder infusionsrelaterede reaktion(er), iværksatte handlinger og udfald):

Angiv hvilken støtte, der skal ydes af infusionssygeplejersken/sundhedspersonen i hjemmet:

UDFYLD DENNE FORMULAR VED HVER INFUSION

Patienten og/eller dennes omsorgsperson(er) er blevet informeret om de risici, der er i forbindelse med hjemmeinfusion af cipagluco­sidase alfa, og der er blevet givet korrekt undervisning i brugen af akutmedicin. I tilfælde af en infusionsrelateret reaktion skal infusionen straks afbrydes. Nødvendige handlinger i tilfælde af en svær infusionsrelateret reaktion, herunder nødkontakt­oplysninger, er beskrevet i denne infusionsdagbog. Sørg for, at disse oplysninger er let tilgængelige under infusionsproceduren.

Dato for første indgivelse	
Første infusion i hjemmet	

INFUSION	
Dato for infusionen	
Infusionssygeplejerske/sundhedsperson	
Omsorgsperson, hvis til stede	

DOSIS	
Miglustat-dosis	
Tidspunkt for miglustat-dosis	
Cipagluco­sidase alfa-dosis	
Patientens vægt (kg)	
Batch-/lotnummer for cipagluco­sidase alfa	
Tidspunkt for påbegyndelse af cipagluco­sidase alfa-infusion	
Nødvendig rekonstitueret volumen (ml)	
Antal anvendte hætteglas	
Infusionsvarighed:	
Infusions­hastighed(er)	

Eventuelle problemer/bemærkninger vedrørende infusionen (herunder infusionsrelaterede reaktion(er), iværksatte handlinger og udfald):

Angiv hvilken støtte, der skal ydes af infusionssygeplejersken/sundhedspersonen i hjemmet:

UDFYLD DENNE FORMULAR VED HVER INFUSION

Patienten og/eller dennes omsorgsperson(er) er blevet informeret om de risici, der er i forbindelse med hjemmeinfusion af cipagluco­sidase alfa, og der er blevet givet korrekt undervisning i brugen af akutmedicin. I tilfælde af en infusionsrelateret reaktion skal infusionen straks afbrydes. Nødvendige handlinger i tilfælde af en svær infusionsrelateret reaktion, herunder nødkontakt­oplysninger, er beskrevet i denne infusionsdagbog. Sørg for, at disse oplysninger er let tilgængelige under infusionsproceduren.

Dato for første indgivelse	
Første infusion i hjemmet	

INFUSION	
Dato for infusionen	
Infusionssygeplejerske/sundhedsperson	
Omsorgsperson, hvis til stede	

DOSIS	
Miglustat-dosis	
Tidspunkt for miglustat-dosis	
Cipagluco­sidase alfa-dosis	
Patientens vægt (kg)	
Batch-/lotnummer for cipagluco­sidase alfa	
Tidspunkt for påbegyndelse af cipagluco­sidase alfa-infusion	
Nødvendig rekonstitueret volumen (ml)	
Antal anvendte hætteglas	
Infusionsvarighed:	
Infusions­hastighed(er)	

Eventuelle problemer/bemærkninger vedrørende infusionen (herunder infusionsrelaterede reaktion(er), iværksatte handlinger og udfald):

Angiv hvilken støtte, der skal ydes af infusionssygeplejersken/sundhedspersonen i hjemmet:

UDFYLD DENNE FORMULAR VED HVER INFUSION

Patienten og/eller dennes omsorgsperson(er) er blevet informeret om de risici, der er i forbindelse med hjemmeinfusion af cipagluco­sidase alfa, og der er blevet givet korrekt undervisning i brugen af akutmedicin. I tilfælde af en infusionsrelateret reaktion skal infusionen straks afbrydes. Nødvendige handlinger i tilfælde af en svær infusionsrelateret reaktion, herunder nødkontakt­oplysninger, er beskrevet i denne infusionsdagbog. Sørg for, at disse oplysninger er let tilgængelige under infusionsproceduren.

Dato for første indgivelse	
Første infusion i hjemmet	

INFUSION	
Dato for infusionen	
Infusionssygeplejerske/sundhedsperson	
Omsorgsperson, hvis til stede	

DOSIS	
Miglustat-dosis	
Tidspunkt for miglustat-dosis	
Cipagluco­sidase alfa-dosis	
Patientens vægt (kg)	
Batch-/lotnummer for cipagluco­sidase alfa	
Tidspunkt for påbegyndelse af cipagluco­sidase alfa-infusion	
Nødvendig rekonstitueret volumen (ml)	
Antal anvendte hætteglas	
Infusionsvarighed:	
Infusions­hastighed(er)	

Eventuelle problemer/bemærkninger vedrørende infusionen (herunder infusionsrelaterede reaktion(er), iværksatte handlinger og udfald):

Angiv hvilken støtte, der skal ydes af infusionssygeplejersken/sundhedspersonen i hjemmet:

UDFYLD DENNE FORMULAR VED HVER INFUSION

Patienten og/eller dennes omsorgsperson(er) er blevet informeret om de risici, der er i forbindelse med hjemmeinfusion af cipagluco­sidase alfa, og der er blevet givet korrekt undervisning i brugen af akutmedicin. I tilfælde af en infusionsrelateret reaktion skal infusionen straks afbrydes. Nødvendige handlinger i tilfælde af en svær infusionsrelateret reaktion, herunder nødkontakt­oplysninger, er beskrevet i denne infusionsdagbog. Sørg for, at disse oplysninger er let tilgængelige under infusionsproceduren.

Dato for første indgivelse	
Første infusion i hjemmet	

INFUSION	
Dato for infusionen	
Infusionssygeplejerske/sundhedsperson	
Omsorgsperson, hvis til stede	

DOSIS	
Miglustat-dosis	
Tidspunkt for miglustat-dosis	
Cipagluco­sidase alfa-dosis	
Patientens vægt (kg)	
Batch-/lotnummer for cipagluco­sidase alfa	
Tidspunkt for påbegyndelse af cipagluco­sidase alfa-infusion	
Nødvendig rekonstitueret volumen (ml)	
Antal anvendte hætteglas	
Infusionsvarighed:	
Infusions­hastighed(er)	

Eventuelle problemer/bemærkninger vedrørende infusionen (herunder infusionsrelaterede reaktion(er), iværksatte handlinger og udfald):

Angiv hvilken støtte, der skal ydes af infusionssygeplejersken/sundhedspersonen i hjemmet:

UDFYLD DENNE FORMULAR VED HVER INFUSION

Patienten og/eller dennes omsorgsperson(er) er blevet informeret om de risici, der er i forbindelse med hjemmeinfusion af cipagluco­sidase alfa, og der er blevet givet korrekt undervisning i brugen af akutmedicin. I tilfælde af en infusionsrelateret reaktion skal infusionen straks afbrydes. Nødvendige handlinger i tilfælde af en svær infusionsrelateret reaktion, herunder nødkontakt­oplysninger, er beskrevet i denne infusionsdagbog. Sørg for, at disse oplysninger er let tilgængelige under infusionsproceduren.

Dato for første indgivelse	
Første infusion i hjemmet	

INFUSION	
Dato for infusionen	
Infusionssygeplejerske/sundhedsperson	
Omsorgsperson, hvis til stede	

DOSIS	
Miglustat-dosis	
Tidspunkt for miglustat-dosis	
Cipagluco­sidase alfa-dosis	
Patientens vægt (kg)	
Batch-/lotnummer for cipagluco­sidase alfa	
Tidspunkt for påbegyndelse af cipagluco­sidase alfa-infusion	
Nødvendig rekonstitueret volumen (ml)	
Antal anvendte hætteglas	
Infusionsvarighed:	
Infusions­hastighed(er)	

Eventuelle problemer/bemærkninger vedrørende infusionen (herunder infusionsrelaterede reaktion(er), iværksatte handlinger og udfald):

Angiv hvilken støtte, der skal ydes af infusionssygeplejersken/sundhedspersonen i hjemmet:

Til sundhedspersoner

Amicus Therapeutics Europe Ltd. har fået en markedsføringstilladelse til behandling af sent debuterende Pompes sygdom.

Nærmere bestemt for Pombiliti® ▼ (cipaglucosidase alfa) 105 mg pulver til koncentrat til infusionsvæske, opløsning, som er indiceret til langvarig enzymerstatningsterapi i kombination med enzymstabilisatoren Opfolda (miglustat) til behandling af voksne med sent debuterende Pompes sygdom (mangel på sur- α -glucosidase [GAA]).

Behandlingen skal iværksættes og overvåges af en læge med erfaring i diagnosticering og behandling af patienter med Pompes sygdom eller andre nedarvede stofskiftesygdomme eller neuromuskulære sygdomme

Pombiliti er beregnet til at erstatte det manglende eller svækkede endogene enzym ved sent debuterende Pompes sygdom.¹⁻³

For at understøtte hensigtsmæssig brug af Pombiliti/Opfolda vedhæfter Amicus hermed en uddannelsespakke. Disse dokumenter indeholder oplysninger om hensigtsmæssig udvælgelse af patienter, der kan modtage infusionsbehandling med Pombiliti/Opfolda i hjemmet. Uddannelsesmaterialerne indeholder også oplysninger om potentielle risici i forbindelse med behandlingen og en vejledning til handlinger, der kan bidrage til at minimere disse risici og understøtte drøftelser med patienterne.

Risiciene omhandler følgende:

- Medicineringsfejl i forbindelse med infusioner i hjemmet
- Infusionsrelaterede reaktioner, herunder overfølsomhedsreaktioner og anafylaktiske reaktioner med eller uden udvikling af IgG- og IgE-antistoffer.

Vedlagt finder du en vejledning i hjemmeinfusioner til sundhedspersoner og en vejledning til patienter/omsorgspersoner inklusiv en infusionsdagbog. Formålet med vejledningen i hjemmeinfusioner er at minimere risikoen for medicineringsfejl, når Pombiliti/Opfolda bliver administreret i hjemmet, og at give klare retningslinjer for a) hvilke patienter, der er egnede til hjemmeinfusion, b) klargøring, rekonstitution og administration af de to produkter i hjemmet og c) genkendelse og håndtering af bivirkninger, herunder infusionsrelaterede reaktioner. Formålet med vejledningen til patienter/omsorgspersoner er at minimere risikoen for infusionsrelaterede reaktioner, overfølsomhed og anafylaktiske reaktioner i forbindelse med infusioner i hjemmet ved at give klare retningslinjer vedrørende genkendelse og håndtering af bivirkninger, herunder infusionsrelaterede reaktioner, og ved at tilvejebringe en metode til dokumentering af patientens infusioner i hjemmet og infusionsrelaterede reaktioner og derved hjælpe med at sikre, at disse oplysninger er let tilgængelige for sundhedspersoner, der administrerer Pombiliti til patienten i dennes hjem.

Hvis du ønsker yderligere oplysninger om brugen af Pombiliti/Opfolda, eller hvis du gerne vil bestille yderligere eksemplarer af disse dokumenter, kan du kontakte Amicus Therapeutics Medical Information på telefonnummer: (+45) 80 253 262 eller via e-mail: MedInfo@amicusrx.com

Med venlig hilsen

Sofia Nordin,

Medical Director, Amicus Nordics

▼ Dette lægemiddel er underlagt supplerende overvågning. Dermed kan der hurtigt tilvejebringes nye oplysninger om sikkerheden. Sundhedspersoner anmodes om at indberette alle formodede bivirkninger via den elektroniske indberetningsformular: Lægemiddelstyrelsen, Axel Heides Gade 1, DK-2300 København S. Websted: www.meldenbivirkning.dk

Referencer:

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

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

Amicus Therapeutics Europe Limited
Block 1, Blanchardstown Corporate Park, Ballycoolin Road,
Blanchardstown, Dublin D15 AKK1, Ireland

www.amicusrx.com | Registration #632070 | VAT #3588734KH

