

EDUKAČNÍ MATERIÁLY

DOMÁCÍ INFUZNÍ LÉČBA PŘÍPRAVKEM POMBILITI (CIPAGLUKOSIDÁZA ALFA)

Příručka pro lékaře k minimalizaci rizika spojeného s infuzemi cipaglukosidázy alfa

VERZE: 1

▼ Tento léčivý přípravek podléhá dalšímu sledování. To umožní rychlé získání nových informací o bezpečnosti. Žádáme zdravotnické pracovníky, aby hlásili jakákoli podezření na nežádoucí účinky. Protože se hlášení týká biologického léčiva, je třeba doplnit i přesný obchodní název a číslo šarže.

Jakékoli podezření na závažný nebo neočekávaný nežádoucí účinek a jiné skutečnosti závažné pro zdraví léčených osob musí být hlášeno Státnímu ústavu pro kontrolu léčiv.

Podrobnosti o hlášení najdete na: <http://www.sukl.cz/nahlasit-nezadouci-ucinek>.

Adresa pro zasílání je Státní ústav pro kontrolu léčiv, odbor farmakovigilance, Šrobárova 48, Praha 10, 100 41, email: farmakovigilance@sukl.cz.

Tato informace může být také hlášena společnosti Amicus Therapeutics. Ošetřující lékař nebo lékař/zdravotní sestra podávající infuze v domácím prostředí mají hlásit jakékoli podezření na nežádoucí reakce na přípravek:

Tel.: (+420) 800 142 207.

Případně zašlete e-mail na drugsafety@amicusrx.com.

Seznamte se také s SmPC přípravku Pombiliti. ▼

Aktuálně platný SmPC lze vyhledat na webových stránkách Státního ústavu pro kontrolu léčiv v sekci Databáze léků na adrese <http://www.sukl.cz/modules/medication/search.php>.

OBSAH

1

Obsah a cíle

3

2

Požadavky na přípravu a podání domácí infuze

3

2.1 Posouzení způsobilosti pro podání domácí infuze

3

2.2 Pacient

4

2.3 Lékařské vyšetření pacienta před podáním domácí infuze

5

2.4 Ošetřující lékař

5

2.5 Lékař/zdravotní sestra podávající infuze

6

2.6 Deník infuzí

7

3

Příprava a podávání cipaglukosidázy alfa

7

3.1 Předepisování

8

3.2 Materiály

8

3.3 Časový harmonogram do podání infuze včetně podání přípravku Opfolda

9

3.4 Dávkování přípravku Pombiliti i Opfolda se počítá podle tělesné hmotnosti

10

3.5 Příprava na rekonstituci

11

3.6 Rekonstituce

12

3.7 Naředění

13

3.8 Podání infuze

14

4

Rozpoznání a zvládání reakcí souvisejících s infuzí a reakcí z přecitlivělosti

15

5

Další informace

17

1

OBSAH A CÍLE

K léčbě pacientů s Pompeho chorobou je k dispozici infuzní léčba Pombiliti (cipaglukosidáza alfa) v kombinaci s přípravkem Opfolda (miglustat). Pacientovo pohodlí a kvalitu života může zlepšit podávání nitrožilní léčby u něj doma, pokud budou splněné určité požadavky.

O této příručce

Účelem této příručky pro lékaře a zdravotní sestry je minimalizovat riziko chyb při domácím podávání přípravku Pombiliti a poskytnout srozumitelné pokyny k následujícím otázkám:

- **Kteří pacienti mají nárok na domácí infuzi a jak domácí infuze, včetně premedikace a naléhavé léčby reakcí na infuzi, organizovat;**
- **Příprava, rekonstituce a podávání přípravku u pacienta doma;**
- **Rozpoznání a zvládání nežádoucích reakcí na léky včetně reakcí souvisejících s infuzí (IAR), a opatření ke zvládání nežádoucích reakcí.**

2

POŽADAVKY NA PŘÍPRAVU A PODÁNÍ DOMÁCÍ INFUZE

2.1

POSOUZENÍ ZPŮSOBILOSTI PRO PODÁNÍ DOMÁCÍ INFUZE

Rozhodnutí o podávání infuze v domácím prostředí učiní ošetřující lékař po vyhodnocení zdravotního stavu pacienta. Při hodnocení způsobilosti pacienta je třeba vzít v úvahu přidružená onemocnění pacienta a jeho schopnost dodržovat požadavky na podávání infuze v domácím prostředí. Před provedením jakýchkoli opatření musí ošetřující lékař určit, zda pacient splňuje následující primární kritéria pro domácí infuzi:

- **Pacient musí infuze dobře snášet a několik měsíců nesmí mít v anamnéze žádné středně závažné nebo závažné IAR.**
- Pacient musí mít za sebou několik měsíců infuzí cipaglukosidázy alfa podávaných v nemocnici nebo na klinice pod dohledem lékaře se zkušenostmi s léčbou pacientů s Pompeho chorobou. Nezbytným předpokladem pro zahájení domácích

infuzí je zdokumentovaný průběh dobré tolerance infuzí bez IAR nebo s mírnými IAR, které byly kontrolovány premedikací.

- Pacientův zdravotní stav musí být považován za stabilní. Před zahájením domácí infuze musí být provedeno komplexní vyhodnocení.
- Pacient musí mít anamnézu dokládající dodržování předepsaného harmonogramu podávání přípravku a požadavků na užívání miglustatu nalačno.
- Pacient musí být ochoten a schopen dodržovat postupy související s domácí infuzí.

2.2

Pacient

OBEČNÉ

- Pacient a/nebo opatrovatel(é) **byli informováni ošetřujícím lékařem o domácí léčbě, a o rizicích spojených s podáváním léčby doma** (například reakce z přecitlivělosti, IAR a chyby v medikaci) a musejí s léčbou doma souhlasit.
- Pacient a/nebo opatrovatel(é) **rozumí onemocnění a jsou schopni rozpoznat nežádoucí příhody, jako jsou reakce z přecitlivělosti a IAR,** a také vědí, jak postupovat, pokud k nim dojde.
- **Domácí prostředí musí být pro podání infuzní léčby příznivé,** tj. musí být čisté se zavedenou elektřinou, tekoucí vodou, přístupem k telefonu, chlazením a fyzickým prostorem, v němž je možné miglustat a veškerý infuzní materiál a vybavení uchovávat.
- Pacient a/nebo opatrovatel(é) **rozumí, že cipaglukosidázu alfa je třeba vždy podávat v kombinaci s miglustatem** a že miglustat by měl být vždy podán 1 hodinu před infuzí cipaglukosidázy alfa..
- Pacient byl **informován, že infuzi podává zdravotní sestra nebo lékař.**
- **Pacienti, u nichž se vyskytnou nežádoucí příhody (nebo jejich opatrovatel), musí informovat lékaře/zdravotní sestru, kteří domácí infuzi podávají, nebo okamžitě kontaktovat ošetřujícího lékaře.** Následné infuze je nutné podat v nemocnici nebo v jiném zdravotnickém zařízení.

LÉKAŘSKÉ

- Pacient musí být **fyzicky i psychicky schopen** podstupovat infuze doma.
- Pacient má **žilní přístup nebo centrální žilní přístup** umožňující správné podání infuze.

2.3

Lékařské vyšetření pacienta před podáním domácí infuze

Před podáním infuze cipaglukosidázy alfa je třeba zjistit způsobilost pacienta k podání infuze. Pacient má být v dobrém celkovém stavu vzhledem k jeho onemocnění. Je třeba vyloučit přítomnost akutního i horečnatého onemocnění. Pacient by měl být dotázán, zda se u něj v souvislosti s předchozí infuzí (tj. poté, co lékař/zdravotní sestra podávající infuze opustili jeho domov) nevyskytly nějaké nežádoucí reakce. Na začátku a také během infuze, zejména před případným zvýšením rychlosti infuze, je třeba pravidelně kontrolovat krevní tlak, puls, dechovou frekvenci a tělesnou teplotu. V případě přidruženého onemocnění nebo nově hlášených nežádoucích reakcí v souvislosti s předchozí infuzí je před zahájením infuze nutná konzultace s ošetřujícím lékařem.

Pacienti se základním akutním respiračním onemocněním nebo zhoršenou srdeční a/nebo respirační funkcí

Existuje riziko závažné exacerbace jejich srdeční nebo respirační poruchy během podávání infuze. Během podávání infuze cipaglukosidázy alfa musí být okamžitě k dispozici vhodná opatření pro lékařskou podporu a monitorování.

2.4

Ošetřující lékař

- Za podání domácí infuze je odpovědný ošetřující lékař **který zajistí bezpečné podání pacientovi tak, aby se předešlo riziku chyb v medikaci a IAR včetně reakcí z přecitlivělosti a anafylaktických reakcí.** Ten musí průběh infuze kontrolovat a zdokumentovat.
- Ošetřující lékař **rozhodne, zda domácí podání svěřit** jinému lékaři/zdravotní sestře a, **pokud tak učiní, zajistí bezpečné uspořádání podávání léčivého přípravku a odpovídající monitorování pacienta, podání premedikace a naléhavé léčby.**

Pokud je podání přípravku svěřeno jiným osobám, je povinností ošetřujícího lékaře:

- Poskytovat lékařům/zdravotním sestrám školení a informace (nebo zajistit, aby měli odpovídající kvalifikaci) a zajistit školení a informace i pacientům a/nebo opatrovatelům;
- Stanovit správné dávkování a rychlost infuze cipaglukosidázy alfa;
- Vytvořit individuální plán pro naléhavé situace s přesnými pokyny a možnostmi kontaktu;
- Určit potřebné vybavení pro infuzi, vhodnou premedikaci a záchrannou medikaci;

- Informovat lékaře/zdravotní sestry o správném dávkování, rychlosti infuze a dalších postupech a o tom, že individuálně vytvořený plán pro naléhavé situace nelze bez výslovného pokynu ošetřujícího lékaře měnit.
- Jasně komunikovat jakékoli změny pacientovi a/nebo opatrovateli (opatrovatelům) a zdravotnickému personálu, který dohlíží na přípravu a podávání cipaglukosidázy alfa.
- Zaznamenat provedená opatření v deníku infuzí.
- Odpovídat za **zahájení všech nezbytných administrativních úkonů**, které umožní ostatním zúčastněným stranám (pacientovi a/nebo opatrovateli, lékaři/zdravotní sestře, kteří infuzi podávají, lékárně) jejich činnost.
- **Zajistit předání „Příručky pro pacienty s Pompeho chorobou, kteří dostávají infuzi cipaglukosidázy alfa v domácím prostředí“, zahrnující deník infuzí.** Rychlost infuze cipaglukosidázy alfa, kterou pacient toleroval v lépe kontrolovaném prostředí (např. v nemocnici nebo v jiném lékařském zařízení), se v domácím prostředí nesmí měnit, pokud to není nutné z důvodu bezpečnosti. Jakékoli změny podávání cipaglukosidázy alfa musejí být jasně zdokumentovány v deníku infuzí.
- Naléhavá léčba musí být podána **podle předpisu pro daného pacienta a má být popsána v deníku infuzí.** Ošetřující lékař musí lékaři/zdravotní sestře, kteří podávají infuzi, zajistit řádné školení ohledně použití léků v naléhavých případech.
- **Pravidelné sledování onemocnění pacienta, který dostává infuze v domácím prostředí, plánování a monitorování infuzí** je odpovědností ošetřujícího lékaře.

2.5

Lékař/zdravotní sestra podávající infuze

- Mají **kvalifikaci k podávání i.v. infuzí, jsou náležitě proškoleni ohledně podávání cipaglukosidázy alfa v kombinaci s miglustatem, jsou proškoleni ohledně možných nežádoucích příhod (včetně závažných nežádoucích příhod, jako jsou anafylaktoidní reakce) a ohledně opatření, která je třeba přijmout**, pokud k nim dojde.
- **Přísně dodržují předepsaný způsob přípravy a podávání, předepsanou dávku a rychlost infuze** cipaglukosidázy alfa v kombinaci s miglustatem, jak je uvedeno v této příručce a Souhrnu údajů o přípravku.
- Jsou **k dispozici po celou dobu infuze v domácím prostředí a po určitou dobu po infuzi**, podle tolerance pacienta před zahájením infuzí v domácím prostředí.

- **Odpovídají za zvládnutí IAR, včetně snížení rychlosti infuze, dočasného přerušování infuze, symptomatické léčby perorálními antihistaminiky nebo antipyretiky, a příslušná resuscitační.** Další pokyny naleznete v bodě 4.
- Zaznamenávají veškeré případné **IAR, včetně reakcí z přecitlivělosti a anafylaktických reakcí** do deníku infuzí.



Lékař/zdravotní sestra podávající infuze musejí v koordinaci s ošetřujícím lékařem hlásit Státnímu ústavu pro kontrolu léčiv a společnosti Amicus Therapeutics všechna podezření na nežádoucí účinky a chyby v medikaci, jak je popsáno na první straně těchto materiálů.

2.6

Deník infuzí

- Deník infuzí slouží jako **komunikační prostředek pro všechny zúčastněné** při podávání cipaglukosidázy alfa v kombinaci s miglustatem v domácím prostředí.
- Lékař/zdravotní sestra podávající infuze **do deníku zaznamenávají zjištění, úkony** a všechny relevantní informace začínající od první infuze.
- **Seznam kontaktů pro naléhavé případy (kontaktní údaje ošetřujícího lékaře a vnitrostátní číslo tísňového volání) musí být uveden v deníku infuzí** a být k dispozici pacientu/opatrovateli a lékaři/zdravotní sestře podávající infuze.
- Deník infuzí musí být **uchováván u pacienta doma** a je aktualizován lékařem/zdravotní sestrou, kteří podávají infuze, a/nebo pacientem/opatrovatelem (opatrovateli) při každém podání cipaglukosidázy alfa.
- Pacient/opatrovatel **musí přinést deník infuzí do nemocnice/na kliniku** na každou návštěvu a poté ho opět odnést domů.
- V deníku infuzí **ošetřující lékař jasně uvede dávku, požadovaný rekonstituovaný objem, rychlost infuze a také případné změny.**
- Ošetřující lékař jasně stanoví postup, jakou **premedikaci je třeba podávat, a jaké léky mají být podány v případě závažné IAR** v souladu se současnými lékařskými standardy pro neodkladnou léčbu.

3

PŘÍPRAVA A PODÁVÁNÍ CIPAGLUKOSIDÁZY ALFA

Aktuálně platný SmPC lze vyhledat na webových stránkách Státního ústavu pro kontrolu léčiv v sekci Databáze léků na adrese <http://www.sukl.cz/modules/medication/search.php>.

3.1

Předepisování

Dávku miglustatu, dávku cipaglukosidázy alfa, požadovaný rekonstituovaný objem, rychlost infuze, premedikaci, medikaci v naléhavých případech i případné změny stanoví ošetřující lékař a zaznamená je do deníku infuzí. Do deníku infuzí musejí být zaznamenány veškeré změny tohoto předpisu.

Jelikož se cipaglukosidáza alfa podává v dávce upravované podle hmotnosti, pro zajištění správného dávkování je důležité tělesnou hmotnost pacienta pravidelně kontrolovat. V případě, že ošetřující lékař svěří podávání infuze dalším osobám, musí určit, jak bude zabezpečeno správné dávkování v případě změny hmotnosti. Aby se předešlo chybám v medikaci, je správné stanovení požadovaného objemu infuze velice důležité a objem by měl být předem určen ošetřujícím lékařem.

Pokud si uvědomíte chybu v medikaci (např. chyba v přípravě, nesprávná rychlost infuze) během přípravy a/nebo podávání cipaglukosidázy alfa, informujte prosím společnost Amicus Therapeutics (viz bod 6).

3.2

Materiály**KONTROLNÍ SEZNAM PRO DEN PODÁNÍ LÉČBY****PŘÍPRAVKY**

- ☐ **Injekční lahvičky přípravku Pombiliti 105 mg** (20 mg/kg tělesné hmotnosti podávané jednou za dva týdny)
- ☐ **Tobolky přípravku Opfolda** (u pacientů ≥ 50 kg, 4 tobolky [celkem 260 mg]; při ≥ 40 kg až < 50 kg, 3 tobolky [celkem 195 mg])
- ☐ Premedikace podle předpisu

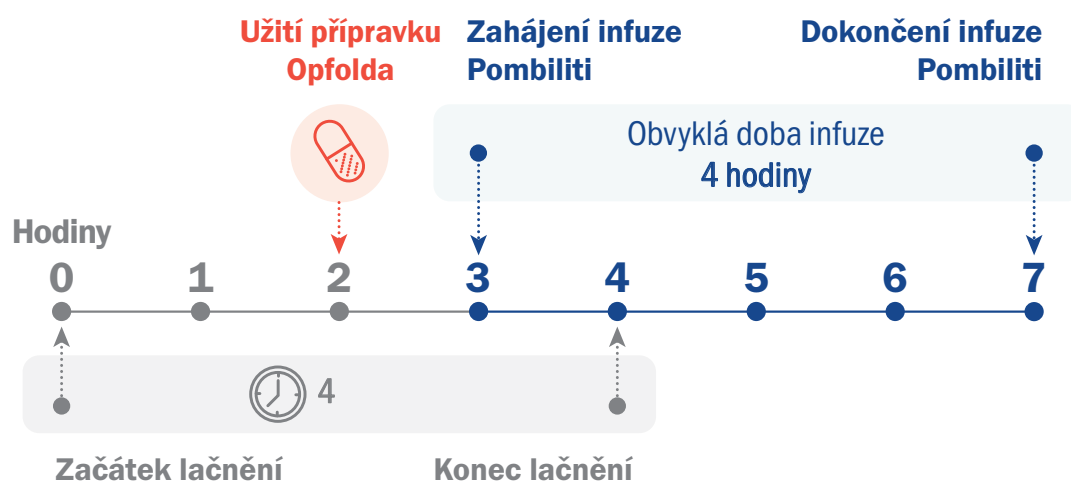
**MATERIÁL A VYBAVENÍ PRO INFUZI**

- ☐ **Sterilní voda** pro injekci při pokojové teplotě 20 °C až 25 °C
- ☐ **Injekční roztok chloridu sodného 9 mg/ml (0,9 %)** při pokojové teplotě 20 °C až 25 °C – velikost vaku zvolte podle tělesné hmotnosti pacienta
- ☐ **Jehla o průměru 18G nebo menší**
– Nepoužívejte filtrační jehly, které během přípravy snižují množství částic
- ☐ **Další materiál** podle protokolu zdravotnického zařízení

3.3

Časový harmonogram do podání infuze včetně podání přípravku Opfolda

Přípravek Pombiliti je třeba podávat pouze společně s přípravkem Opfolda. Použití přípravku Opfolda s žádnou jinou enzymovou substituční terapií GAA nebylo zkoumáno.

Jak by měl vypadat den podání infuze:

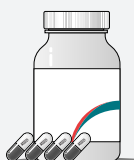
Pokud pacient přechází z jiné enzymové substituční terapie (ERT), léčba Pombiliti v kombinaci s Opfolda může být zahájena v době následující naplánované dávky, tj. přibližně za 2 týdny po posledním podání ERT. Pacientům, kteří přešli z jiné ERT na léčbu Pombiliti v kombinaci s Opfolda, je třeba doporučit, aby pokračovali v premedikaci používané při předchozí léčbě ERT, aby se minimalizovaly reakce související s infuzí (IAR).

**DŮKLADNĚ ZKONTROLUJTE DODRŽENÍ TĚCHTO PODMÍNEK**

- Pacient užil tobolky Opfolda přibližně 1 hodinu před plánovaným zahájením infuze
- Pacient zůstal nalačno 2 hodiny před a 2 hodiny po užití přípravku Opfolda

3.3

(pokračování)



UŽÍVÁNÍ PŘÍPRAVKU OPFOLDA

- Tobolky je třeba užívat nalačno
- Pacient musí **zůstat nalačno 2 hodiny před a 2 hodiny po užití přípravku Opfolda**
- Tobolky je třeba užít přibližně **1 hodinu před zahájením infuze přípravku Pombiliti**
 - V případě zpoždění by infuze neměla být zahájena déle než 3 hodiny od perorálního podání přípravku Opfolda
- Tobolky by se měly zapíjet vodou, odtučněným kravským mlékem a čajem nebo kávou bez smetany, cukru nebo sladidel. Tyto nápoje se mohou konzumovat i během 4hodinového lačnění
- Dvě hodiny po užití přípravku Opfolda může pacient začít znovu normálně jíst a pít

3.4

Dávkování přípravku Pombiliti i Opfolda se počítá podle tělesné hmotnosti

Pokud se hmotnost pacienta od poslední infuze změnila nebo pokud jste pacientovi přípravky Pombiliti + Opfolda ještě nepodávali, je nutné pacienta zvážit.

Výpočet dávky

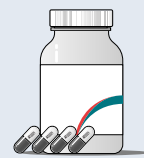
Přípravek **Pombiliti** se podává pacientovi nitrožilní infuzí jednou za dva týdny společně s perorálním přípravkem Opfolda.



Dávky stanovené podle hmotnosti

Doporučené dávkování: 20 mg/kg celkové tělesné hmotnosti podávaných jednou za dva týdny formou nitrožilního roztoku

Tobolky přípravku **Opfolda** 65 mg se podávají jednou za dva týdny společně s nitrožilní infuzí přípravku Pombiliti.



Dávky stanovené podle hmotnosti

Doporučené dávkování:

- ≥ 40 kg, ale < 50 kg = 3 tobolky
- ≥ 50 kg = 4 tobolky

	Výpočet	Příklad
Dávka	Tělesná hmotnost pacienta (kg) x dávka (20 mg/kg)	65 kg x 20 mg/kg = celková dávka 1 300 mg
Lahvičky k rekonstituci	Pacientova dávka (v mg) děleno 105 (mg/lahvička)	1 300/105 mg na lahvičku = 12,38 lahviček
Lahvičky k přípravě	Zaokrouhlete nahoru na nejbližší celou lahvičku	12,38 lahviček → 13 lahviček
Výpočet extrakčního objemu	Počet plných lahviček x 7,0 ml/ extrakční objem lahve	12 lahviček x 7,0 ml = 84 ml 0,38 lahvičky x 7,0 ml = 2,7 ml 84 ml + 2,7 ml = extrakční objem 86,7 ml

3.5

Příprava na rekonstituci

Před podáním přípravku Pombiliti pacientovi musí být provedena rekonstituce. Jakmile budete vědět, kolik lahviček použít, vyjměte je z chladničky a nechte je asi půl hodiny stát, aby dosáhly pokojové teploty 20 °C až 25 °C.



VYBAVENÍ POTŘEBNÉ K REKONSTITUCI A NAŘEDĚNÍ



Injekční lahvičky přípravku Pombiliti 105 mg



Sterilní voda pro injekci při pokojové teplotě 20 °C až 25 °C



Injekční roztok chloridu sodného 9 mg/ml (0,9 %) při pokojové teplotě 20 °C až 25 °C
– Velikost vaku zvolte podle tělesné hmotnosti pacienta



Jehla o průměru 18G nebo menší
– Nepoužívejte filtrační jehly, které během přípravy snižují množství částic

KAŽDOU LAHVIČKU PEČLIVĚ ZKONTROLUJTE



Roztok je čirý až opalizující, bezbarvý až slabě nažloutlý roztok prakticky bez částic, ale může obsahovat bílé až průsvitné částice.



Pokud zjistíte přítomnost cizích látek nebo pokud má roztok změněnou barvu, přípravek nepoužívejte.

3.6

Rekonstituce lyofilizovaného koláče/prášku



1 Vyjměte lahvičky z chladničky (2 °C až 8 °C) a nechte ohřát na pokojovou teplotu (tj. přibližně 30 minut při 20 °C až 25 °C).



2 Rekonstituujte každou injekční lahvičku pomalým přidáním 7,2 ml sterilní vody pro injekci po kapkách po stěně injekční lahvičky, nikoli přímo na lyofilizovaný prášek. Dbejte na to, aby nedošlo k silnému nárazu sterilní vody pro injekci na lyofilizovaný prášek, a zabraňte pění.



3 Každou injekční lahvičku opatrně nakloňte a jemně otáčejte, aby se prášek rozpustil. Neobracejte ji dnem vzhůru, nekružte s ní ani ji neprotřepávejte. Rekonstituce lyofilizovaného prášku obvykle trvá 2 minuty.



4 Proveďte kontrolu rekonstituovaných injekčních lahviček, zda neobsahují částice a zda nedošlo ke změně barvy. Rekonstituovaný objem vypadá jako čirý až opalizující, bezbarvý až slabě nažloutlý roztok prakticky bez částic, ale může obsahovat bílé až průsvitné částice.

- Pokud po okamžité kontrole zjistíte přítomnost cizích látek, nebo pokud má roztok změněnou barvu, přípravek nepoužívejte
- Každá rekonstituovaná injekční lahvička by měla obsahovat koncentraci 15 mg/ml s extrahovatelným objemem 7,0 ml

5 Opakujte výše uvedené kroky, dokud nezískáte potřebný počet injekčních lahviček určených k naředění.

3.7

Naředění roztoku



1 Odstraňte vzduch z infuzního vaku. Odeberte stejný objem injekčního roztoku chloridu sodného 9 mg/ml (0,9 %), který bude nahrazen celkovým objemem (ml) rekonstituovaného přípravku Pombiliti.



2 Pomalu natáhněte rekonstituovaný roztok z injekčních lahviček, dokud nezískáte příslušnou dávku pro pacienta. Dbejte na to, aby v injekční stříkačce nedocházelo k pění. Zlikvidujte veškerý zbývající rekonstituovaný roztok v poslední injekční lahvičce.



3 Pomalu vstříkněte rekonstituovaný roztok přípravku Pombiliti přímo do vaku s injekčním roztokem chloridu sodného 9 mg/ml (0,9 %). Nedávejte jej přímo do vzduchového prostoru, který může zůstat uvnitř infuzního vaku.



- 4
- Infuzní vak opatrně převraťte dnem vzhůru nebo jej masírujte, aby se naředěný roztok promíchal.
 - Infuzní vak neprotřepávejte ani jej příliš prudce nemíchejte.
 - K přepravě infuzního vaku nepoužívejte potrubiční poštu.

Přípravek Pombiliti je třeba podávat podle pokynů uvedených v Souhrnu údajů o přípravku



- K podání použijte intravenózní set s 0,2 mikronovým in-line filtrem s nízkou vazbou proteinů. Pokud se i.v. linka v průběhu infuze zablokuje, vyměňte filtr.
- Pokud není možné zahájit infuzi ihned po naředění, doba a podmínky uchovávání přípravku po otevření jsou v odpovědnosti uživatele, a normálně by doba neměla být delší než 24 hodin při 2 °C až 8 °C a následně 6 hodin při pokojové teplotě (do 25 °C), aby bylo možné podat infuzi.

3.8

Podání infuze



Nyní můžete zahájit infuzi

Infuze bude trvat přibližně 4 hodiny.



1. Infuzní roztok je třeba podávat při pokojové teplotě.
2. Celkový objem infuze je určen na základě tělesné hmotnosti pacienta a infuze obvykle trvá přibližně 4 hodiny.
3. Infuze přípravku Pombiliti by měla začít **1 hodinu po perorálním podání přípravku Opfolda**.
4. V případě zpoždění by infuze neměla být zahájena déle **než 3 hodiny od perorálního podání přípravku Opfolda**.
5. Počáteční rychlost infuze by neměla být vyšší než 1 mg na kg za hodinu po dobu 30 minut.
6. Podle tolerance pacienta, rychlost infuze se může zvyšovat každých 30 minut o 2 mg na kg za hodinu, dokud nebude dosaženo maximální rychlosti 7 mg na kg za hodinu.
7. Na konci každého kroku je třeba změřit základní životní funkce.

Doporučené objemy a rychlost infuze

Rozsah hmotnosti pacienta (kg)	Celkový objem infuze (ml)	1. krok 1 mg/kg/h (ml/h)	2. krok 1 mg/kg/h (ml/h)	3. krok 1 mg/kg/h (ml/h)	4. krok 1 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	1 000	50	150	250	350

Mírné až středně těžké a přechodné IAR mohou být adekvátně zvládnuty snížením rychlosti infuze nebo přerušením infuze. V případě těžkých alergických nebo anafylaktických reakcí infuze musí být okamžitě pozastavena a musí být zahájena vhodná léčba.

4

ROZPOZNÁNÍ A ZVLÁDÁNÍ REAKCÍ SOUVISEJÍCÍCH S INFUZÍ A REAKCÍ Z PŘECITLIVĚLOSTI

Je známo, že reakce související s infuzí (IAR) a reakce z přecitlivělosti se projevují během infuze cipaglukosidázy alfa a dalších enzymových substitučních terapií (ERT), nebo až několik hodin po ní. Většina IAR hlášených u cipaglukosidázy alfa byla mírná nebo středně závažná a měla přechodný charakter; patřily k nim **břišní distenze, třesavka, pyrexie, závrať, dysgeuzie, dyspnoe, pruritus, vyrážka a zrudnutí**. U pacientů, kteří dostávali cipaglukosidázu alfa, byly také hlášeny těžké IAR, jako je anafylaxe. Příznaky těžkých IAR mohou zahrnovat angioedém, bronchospasmus, bolest na hrudi, zimnici, dyspnoe, kopřivku, hypotenzi (pocit na omdlení, bledost), otok hrtanu, synkopu a tachykardii.

Mezi pacienty se zvláštním rizikem reakcí souvisejících s infuzí patří:

- Pacienti s **akutním onemocněním v okamžiku infuze**. Tyto případy je třeba konzultovat s ošetřujícím lékařem před zahájením infuze, může být nutné delší sledování pacienta.
- Pacienti s **pokročilou Pompeho chorobou a zhoršenou srdeční a respirační funkcí**. Takoví pacienti mohou během infuze vyžadovat resuscitační opatření. V souladu s informacemi od lékaře je třeba provést vhodná opatření pro lékařskou podporu a monitorování.
- Pacienti s **rizikem objemového přetížení** (např. zhoršená srdeční a/nebo respirační funkce). Tito pacienti jsou vystaveni riziku objemového přetížení souvisejícího s infuzí přes vážné zhoršení srdečního nebo respiračního stavu až po kardiopulmonální selhání. Během infuze by měla být k dispozici vhodná opatření pro lékařskou podporu a monitorování na základě rozhodnutí lékaře. Někteří pacienti mohou také podle rozhodnutí lékaře vyžadovat dlouhodobější sledování.

Ke zvládnutí IAR je třeba zvážit vhodné prostředky, například snížení rychlosti infuze, dočasné přerušení infuze, symptomatickou léčbu perorálními antihistaminiky nebo antipyretiky a vhodná resuscitační opatření. V případě těžké IAR musí lékař/zdravotní sestra infuzi okamžitě zastavit a zahájit vhodnou léčbu. Je třeba dodržovat aktuální lékařské standardy pro neodkladnou léčbu anafylaktických reakcí a musí být k dispozici kardiopulmonální resuscitační zařízení.

Je třeba pečlivě zvážit rizika a přínosy opakovaného podávání cipaglukosidázy alfa po anafylaktické nebo těžké reakci na infuzi. V případě, že pacient bude v léčbě pokračovat, další infuze se musí podat v klinickém prostředí, které má vybavení pro řešení takových naléhavých zdravotních situací.

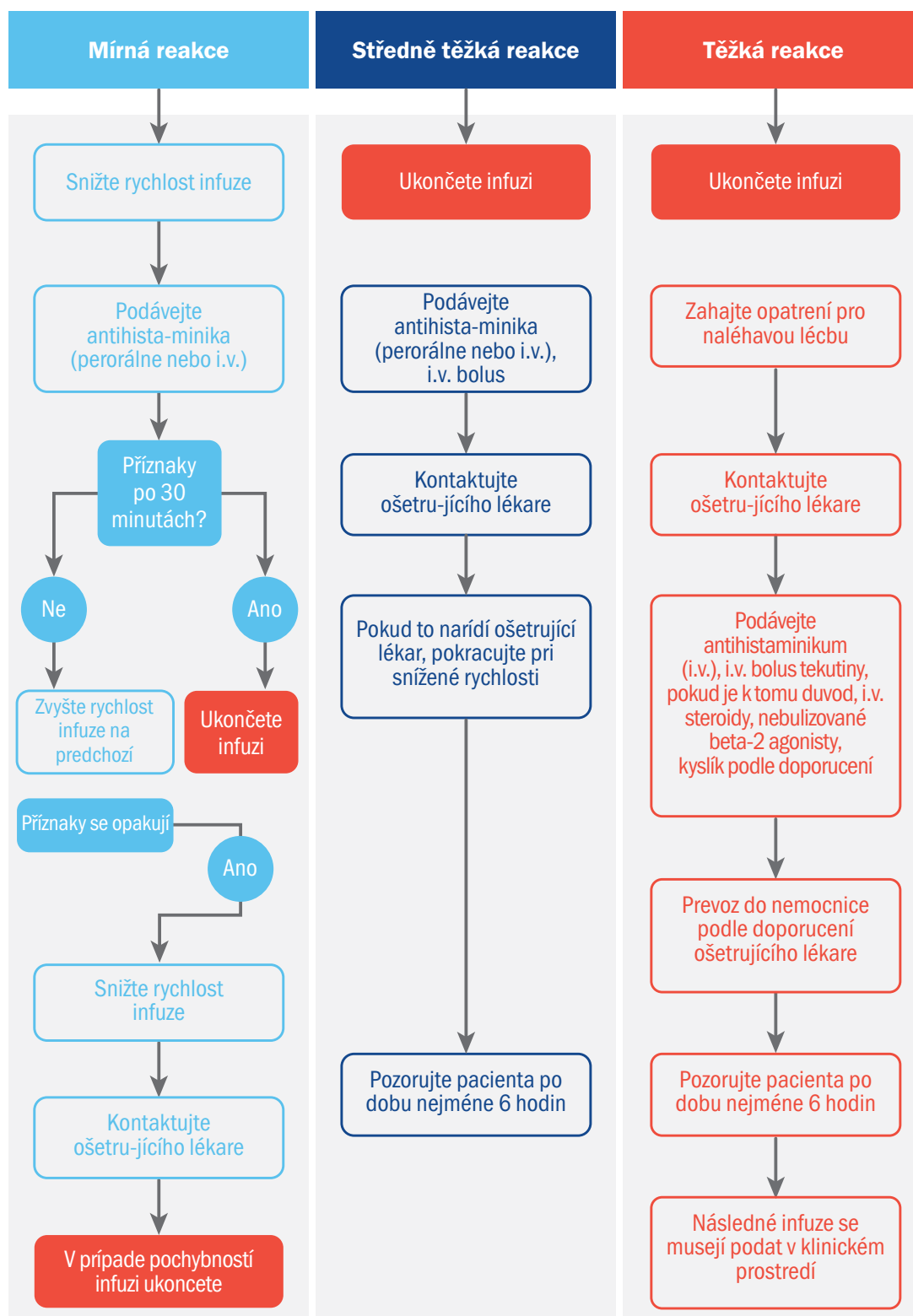


Diagram na další stránce uvádí doporučení, jak v případě IAR postupovat.

Konečné rozhodnutí o léčbě v naléhavých situacích učiní ošetřující lékař. Před zahájením infuze zajistěte podmínky pro okamžitou resuscitaci.

Do deníku infuzí si zaznamenejte všechny údaje o časech, nežádoucích reakcích, lécích a rychlosti infuze.

4



Úplné informace o bezpečnosti cipaglukosidázy alfa naleznete také v aktuálním Souhrnu údajů o přípravku (SmPC), který je k dispozici na webových stránkách Státního ústavu pro kontrolu léčiv v sekci Databáze léků na adrese <http://www.sukl.cz/modules/medication/search.php>.

5

DALŠÍ INFORMACE



SmPC pro přípravky Pombiliti a Opfolda jsou k dispozici na webových stránkách Státního ústavu pro kontrolu léčiv v sekci Databáze léků na adrese

<http://www.sukl.cz/modules/medication/search.php>

Případně si můžete pokyny pro předepisování vyžádat od společnosti Amicus Therapeutics na **Tel: (+420) 800 142 207.**

VERZE: 01

SCHVÁLENO SÚKL: 11/2024