

Bipacksedel: Information till användaren

▼ Detta läkemedel är föremål för utökad övervakning. Detta kommer att göra det möjligt att snabbt identifiera ny säkerhetsinformation. Du kan hjälpa till genom att rapportera de biverkningar du eventuellt får. Information om hur du rapporterar biverkningar finns i slutet av avsnitt Biverkningar.

Pombiliti

105 mg pulver till koncentrat till infusionsvätska, lösning
cipaglukosidas alfa

**Läs noga igenom denna bipacksedel innan du får detta läkemedel.
Den innehåller information som är viktig för dig.**

- Spara denna information, du kan behöva läsa den igen.
- Om du har ytterligare frågor vänd dig till läkare, apotekspersonal eller sjuksköterska.
- Om du får biverkningar, tala med läkare, apotekspersonal eller sjuksköterska. Detta gäller även eventuella biverkningar som inte nämns i denna information. Se avsnitt 4.

I denna bipacksedel finner du information om:

1. Vad Pombiliti är och vad det används för
2. Vad du behöver veta innan du får Pombiliti
3. Hur du får Pombiliti
4. Eventuella biverkningar
5. Hur Pombiliti ska förvaras
6. Förpackningens innehåll och övriga upplysningar

1. Vad Pombiliti är och vad det används för

Vad Pombiliti är

Pombiliti är en typ av "enzymersättningsbehandling" som används i behandlingen av sent debuterad Pompes sjukdom hos vuxna. Det innehåller den aktiva substansen "cipaglukosidas alfa".

Vad det används för

Pombiliti används alltid tillsammans med ett annat läkemedel som heter miglustat och tas som 65 mg hårda kapslar. Det är mycket viktigt att du även läser bipacksedeln för miglustat 65 mg hårda kapslar.

Om du har några frågor om dina läkemedel, fråga läkare eller apotekspersonal.

Hur Pombiliti fungerar

Personer med Pompes sjukdom har låga nivåer av enzymet surt alfa-glukosidas (GAA). Detta enzym hjälper till att kontrollera mängden glykogen (en typ av kolhydrater) i kroppen.

Vid Pompes sjukdom ansamlas stora mängder glykogen i kroppens muskler. Detta hindrar musklerna, till exempel musklerna som hjälper dig att gå, musklerna under lungorna som hjälper dig att andas och hjärtmuskeln, från att fungera ordentligt.

Pombiliti tränger in i de muskelceller som påverkas av Pompes sjukdom. Inne i cellerna fungerar läkemedlet som surt alfa-glukosidas och hjälper till att bryta ner glykogen och hålla mängden glykogen under kontroll.

2. Vad du behöver veta innan du får Pombiliti

Du ska inte få Pombiliti

om du någon gång har fått livshotande överkänslighetsreaktioner mot:

- cipaglukosidas alfa
- miglustat
- något annat innehållsämne i detta läkemedel (anges i avsnitt 6).
- om en tidigare infusion behövde avbrytas och inte kunde återupptas på grund av livshotande överkänslighetsreaktioner.

Varningar och försiktighet

Tala med läkare, apotekspersonal eller sjuksköterska innan du använder Pombiliti.

Tala omedelbart med din läkare eller sjuksköterska om detta gäller dig, om du tror att det kan gälla dig eller om du någon gång har fått några sådana reaktioner med en annan enzymsättningsbehandling:

- allergiska reaktioner, inklusive anafylaxi (en allvarlig allergisk reaktion), se avsnitt 4 "Eventuella biverkningar" nedan för symtom på livshotande reaktioner
- infusionsrelaterad reaktion medan du får läkemedlet eller inom några timmar efteråt, se avsnitt 4 "Eventuella biverkningar" nedan för symtom på livshotande reaktioner.

Informera din läkare om du har eller har haft en hjärt- eller lungsjukdom. Dessa tillstånd kan förvärras under eller omedelbart efter din infusion av Pombiliti. Tala omedelbart om för en läkare eller sjuksköterska om du upplever andnöd, hosta, snabba eller oregelbundna hjärtslag eller andra effekter av dessa tillstånd.

Tala om för din läkare om du har svullnad i benen eller utbredd svullnad i kroppen, kraftiga hudutslag eller skummande urin när du kissar. Din läkare kommer att avgöra om infusionen med Pombiliti ska avbrytas och läkaren kommer att ge dig lämplig medicinsk behandling. Din läkare kommer också att avgöra om du kan fortsätta att få Pombiliti.

Läkemedel före behandling

Din läkare kan ge dig andra läkemedel innan du får Pombiliti. Dessa läkemedel är

- antihistaminer och kortikosteroider för att förhindra eller minska infusionsrelaterade reaktioner
- febernedsättande medel.

Barn och ungdomar

Detta läkemedel ska inte ges till patienter som är under 18 år. Detta beror på att effekterna av Pombiliti när det tas tillsammans med miglustat inte är kända för denna åldersgrupp.

Andra läkemedel och Pombiliti

Tala om för läkare eller sjuksköterska om du använder, nyligen har använt eller kommer att använda andra läkemedel. Detta omfattar även receptfria läkemedel och (traditionella) växtbaserade läkemedel.

Graviditet och amning

Om du är gravid eller ammar, tror att du kan vara gravid eller planerar att skaffa barn, rådfråga läkare eller apotekspersonal innan du använder detta läkemedel.

Det finns ingen erfarenhet av användning av Pombiliti i kombination med miglustat under graviditet.

- Du ska inte få Pombiliti och/eller ta miglustat 65 mg hårda kapslar om du är gravid. Se till att du omedelbart talar om för din läkare om du blir gravid, tror att du kan vara gravid eller om du planerar att bli gravid. Det kan finnas risker för det ofödda barnet.
- Pombiliti i kombination med miglustat ska inte användas till kvinnor som ammar. Ett beslut måste fattas om man ska avbryta amningen eller avbryta behandlingen.

Preventivmedel och fertilitet

Fertila kvinnliga patienter måste använda tillförlitliga preventivmedel under behandlingen och i 4 veckor efter att de har slutat ta båda läkemedlen.

Körförmåga och användning av maskiner

Du kan känna dig yr, sömning eller få lågt blodtryck efter att du har fått Pombiliti eller förbehandlats med andra läkemedel. Om detta händer ska du inte köra bil eller använda några verktyg eller maskiner.

Pombiliti innehåller natrium

Detta läkemedel innehåller 10,5 mg natrium (huvudingrediensen i koksalt/bordssalt) per injektionsflaska. Detta motsvarar 0,52 % av högsta rekommenderat dagligt intag av natrium för vuxna.

3. Hur du får Pombiliti

Pombiliti ges av läkare eller sjuksköterska. Det ges genom ett dropp i en ven. Detta kallas för en intravenös infusion.

Tala med din läkare om du skulle vilja få behandlingen hemma. Din läkare kommer efter utvärdering att avgöra om det är säkert för dig att få infusioner av Pombiliti i hemmet. Om du får biverkningar under en Pombiliti-infusion kan personalen som ger dig infusionen i hemmet stoppa infusionen och påbörja lämplig medicinsk behandling.

Pombiliti ska användas tillsammans med miglustat. Du får endast använda miglustat 65 mg kapslar tillsammans med cipaglukosidas alfa. Använd **INTE** miglustat 100 mg kapslar (annat läkemedel). Följ läkarens anvisningar och läs bipacksedeln för miglustat 65 mg hårda kapslar för rekommenderad dos.

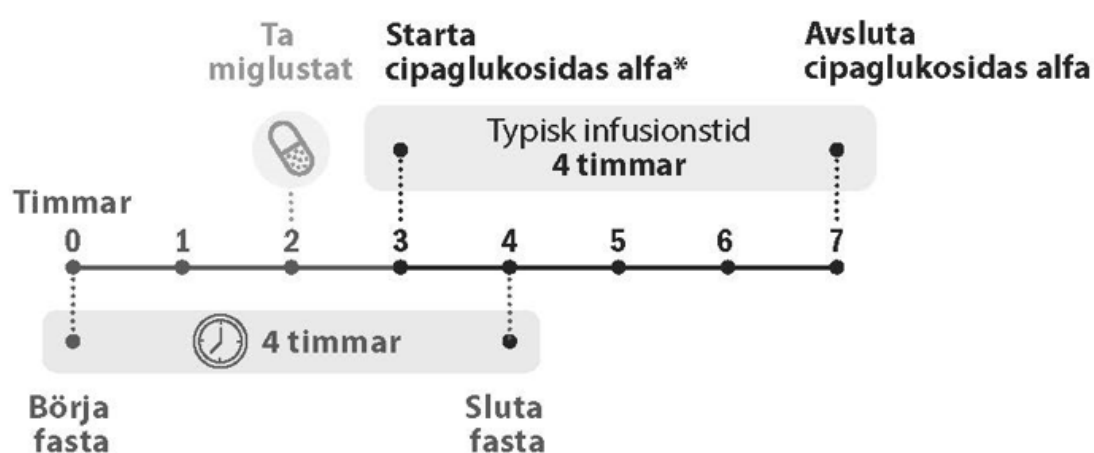
Hur mycket Pombiliti som ges

Mängden läkemedel som du får är baserad på din vikt. Rekommenderad dos är 20 mg för varje kilo kroppsvikt.

När och hur länge ges Pombiliti

- Du kommer att behandlas med Pombiliti en gång varannan vecka. Miglustat 65 mg kapslar tas samma dag som du får Pombiliti. Se bipacksedeln för miglustat 65 mg hårda kapslar för information om hur du tar miglustat.
- Infusionen med cipaglukosidas alfa ska starta 1 timme efter att du har tagit miglustat 65 mg hårda kapslar.
 - Om det skulle ske en fördröjning får det inte gå mer än 3 timmar efter att du tog miglustat innan Pombiliti-infusionen startar.
- Infusionen av cipaglukosidas alfa varar cirka 4 timmar.

Figur 1. Tidslinje för dos



* Infusionen med cipaglukosidas alfa ska påbörjas 1 timme efter intag av miglustat kapslar. Om det skulle ske en fördröjning får det inte gå mer än 3 timmar efter att du tog miglustat innan Pombiliti-infusionen startar.

Byte från en annan enzymsättningsbehandling

Om du för närvarande behandlas med en annan enzymsättningsbehandling gäller följande:

- Din läkare kommer att tala om för dig när du ska sluta med den andra enzymsättningsbehandlingen innan du börjar med Pombiliti.
- Tala om för din läkare när du tog din sista dos.

Om du har fått för stor mängd av Pombiliti

Om du har svårt att andas, känner dig svullen eller uppsvälld, eller om ditt hjärta rusar, kan du ha fått för mycket Pombiliti. Tala omedelbart om det för din läkare. För snabb infusion av Pombiliti kan leda till symptom på grund av vätskeöverskott i kroppen, t.ex. andfåddhet, snabb puls eller utbredd svullnad av kroppen.

Om du har missat en dos Pombiliti

Om du har missat en infusion ska du kontakta läkare eller sjuksköterska så snart som möjligt för att få en ny tid för när du ska få Pombiliti i kombination med miglustat minst 24 timmar efter att du senast tog miglustat.

Om du slutar att få Pombiliti

Tala med din läkare om du vill avbryta behandlingen med Pombiliti. Symtomen på din sjukdom kan förvärras om du slutar med behandlingen.

4. Eventuella biverkningar

Liksom alla läkemedel kan detta läkemedel orsaka biverkningar, men alla användare behöver inte få dem.

Pombiliti används tillsammans med miglustat och biverkningar kan förekomma med båda dessa läkemedel. Biverkningar sågs huvudsakligen medan patienterna fick en infusion med Pombiliti (infusionsrelaterade reaktioner) eller kort därefter. Du måste omedelbart tala om för din läkare om du får en infusionsrelaterad reaktion eller en allergisk reaktion. Vissa av dessa reaktioner kan bli allvarliga och livshotande. Din läkare kan ge dig läkemedel före infusionen för att förhindra dessa reaktioner.

Infusionsrelaterade reaktioner

De flesta infusionsrelaterade reaktioner är lindriga eller måttliga. Symtom på infusionsrelaterade reaktioner kan vara andningssvårigheter, uppsvälldhet, feber, frossa, yrsel, hudrodnad, kliande hud och utslag.

Allergiska reaktioner

Allergiska reaktioner kan ge symtom som utslag på olika ställen på kroppen, svullna ögon, långvariga andningssvårigheter, hosta, svullnad av läppar, tunga eller svalg, kliande hud och nässelutslag.

Mycket vanliga (kan förekomma hos fler än 1 av 10 personer)

- Huvudvärk

Vanliga (kan förekomma hos upp till 1 av 10 personer)

- Hosta
- Värmevallningar (plötslig rodnad i ansikte, hals eller övre delen av bröstkorgen)
- Bröstsmärta
- Utslag, klåda
- Ökat blodtryck
- Svette
- Uppsvälldhet
- Tarmgaser
- Diarré
- Kräkningar
- Illamående
- Feber eller frossa
- Nässelutslag
- Svullnad eller smärta i det kroppsområde där nålen fördes in
- Muskelkramper, muskelsmärta, muskelsvaghet
- Ofrivillig skakning i en eller flera delar av kroppen
- Ökad svettning
- Smärta

- Förändrat smaksinne
- Konstant trötthet eller sömnhet
- Andnöd

Mindre vanliga (kan förekomma hos upp till 1 av 100 personer)

- Andningssvårigheter som leder till hosta, ett visslande ljud (väsande andning) när du andas ut samt andfåddhet (astma)
- Allergiska reaktioner
- Svullnad i händer, fötter, anklar, ben
- Svullnad i huden
- Matsmältningsbesvär
- Magsmärtor
- Konstant trötthetskänsla
- Ont i halsen eller irriterat svalg
- Smärtsamma och onormala sammandragningar i svalget (svalgkramp)
- Irritation i munnen
- Smärta eller obehag i bakre delen av munhålan
- Smärta i kinden, tandköttet, läpparna, hakan
- Förlust av styrka och energi, svaghetskänsla
- Obehagskänslor, känsla av trötthet i hela kroppen eller fysisk trötthet
- Brännande känsla
- Rivmärken eller skador på huden
- Förändrad kroppstemperatur
- Minskad mängd av en typ av vita blodkroppar – visas i tester
- Sömnhet
- Yrsel
- Ledvärk
- Smärta i området mellan höften och revbenen
- Muskeltrötthet
- Ökad muskelstelhet
- Problem med att hålla eller upprätthålla balansen
- Lågt blodtryck
- Svimningskänsla
- Smärta i ena eller båda sidorna av huvudet, bultande smärta, aura, ögonsmärta, ljuskänslighet (migrän)
- Hudmissfärgning

Rapportering av biverkningar

Om du får biverkningar, tala med läkare, apotekspersonal eller sjuksköterska. Detta gäller även eventuella biverkningar som inte nämns i denna information. Du kan också rapportera biverkningar direkt till Läkemedelsverket, www.lakemedelsverket.se. Genom att rapportera biverkningar kan du bidra till att öka informationen om läkemedels säkerhet. Postadress

Läkemedelsverket
Box 26
751 03 Uppsala

5. Hur Pombiliti ska förvaras

Din läkare, apotekspersonal eller sjuksköterska ansvarar för förvaringen av detta läkemedel och för att öppnade injektionsflaskor kasseras på rätt sätt. Följande uppgifter är endast avsedda för hälso- och sjukvårdspersonal:

Förvara detta läkemedel utom syn- och räckhåll för barn.

Används före utgångsdatum som anges på flaskan och kartongen efter "EXP". Utgångsdatumet är den sista dagen i angiven månad.

Oöppnade injektionsflaskor: Förvaras i kylskåp (2 °C-8 °C). Förvara injektionsflaskan i ytterkartongen. Ljuskänsligt.

Efter spädning rekommenderas omedelbar användning. Förvaring av infusionspåsen med Pombiliti har dock påvisats i 6 timmar vid 20 °C-25 °C och 24 timmar vid 2 °C-8 °C.

Läkemedel ska inte kastas i avloppet eller bland hushållsavfall. Fråga apotekspersonalen hur man kastar läkemedel som inte längre används. Dessa åtgärder är till för att skydda miljön.

6. Förpackningens innehåll och övriga upplysningar

Innehållsdeklaration

Den aktiva substansen är cipaglukosidas alfa. En injektionsflaska innehåller 105 mg cipaglukosidas alfa. Efter rekonstitution (upplösning) innehåller lösningen i injektionsflaskan 15 mg cipaglukosidas alfa per ml. Den rekommenderade slutkoncentrationen av cipaglukosidas alfa utspädd i den intravenösa påsen är mellan 0,5 mg/ml och 4 mg/ml.

Övriga innehållsämnen är

- Natriumcitratdihydrat (E331)
- Citronsyramonohydrat (E330)
- Mannitol (E421)
- Polysorbat 80 (E433)

Läkemedlets utseende och förpackningsstorlekar

Pombiliti är ett vitt till svagt gulaktigt pulver. Efter rekonstitution är det en klar till opalskimrande, färglös till svagt gul lösning, fri från främmande partiklar och praktiskt taget fri från partiklar i form av vita till genomskinliga partiklar. Den rekonstituerade lösningen måste spädas ytterligare i en intravenös infusionspåse.

Pombiliti är ett pulver till koncentrat till infusionsvätska, lösning i en injektionsflaska.

Förpackningar om 1 injektionsflaska, 10 injektionsflaskor eller 25 injektionsflaskor.

Eventuellt kommer inte alla förpackningsstorlekar att marknadsföras.

Innehavare av godkännande för försäljning och tillverkare

Innehavare av godkännande för försäljning

Amicus Therapeutics Europe Limited

Block 1, Blanchardstown Corporate Park
Ballycoolin Road
Blanchardstown, Dublin
D15 AKK1
Irland
tfn: +353 (0) 1 588 0836
fax: +353 (0) 1 588 6851
e-post: info@amicusrx.co.uk

Tillverkare

Manufacturing Packaging Farmaca (MPF) B.V.
Neptunus 12, Heerenveen, 8448CN, Nederländerna

Kontakta ombudet för innehavaren av godkännandet för försäljning om du vill veta mer om detta läkemedel:

België/Belgique/Belgien Amicus Therapeutics Europe Limited Tél/Tel: (+32) 0800 89172 MedInfo@amicusrx.com	Lietuva Amicus Therapeutics Europe Limited Tel: (+370) 8800 33167 MedInfo@amicusrx.com
България Amicus Therapeutics Europe Limited Тел.: (+359) 00800 111 3214 MedInfo@amicusrx.com	Luxembourg/Luxemburg Amicus Therapeutics Europe Limited Tél/Tel: (+352) 800 27003 MedInfo@amicusrx.com
Česká republika Amicus Therapeutics Europe Limited Tel.: (+420) 800 142 207 MedInfo@amicusrx.com	Magyarország Amicus Therapeutics Europe Limited Tel.: (+36) 06 800 21202 MedInfo@amicusrx.com
Danmark Amicus Therapeutics Europe Limited Tlf.: (+45) 80 253 262 MedInfo@amicusrx.com	Malta Amicus Therapeutics Europe Limited Tel: (+356) 800 62674 MedInfo@amicusrx.com
Deutschland Amicus Therapeutics GmbH Tel: (+49) 0800 000 2038 MedInfo@amicusrx.com	Nederland Amicus Therapeutics BV Tel: (+31) 20 235 8510 / (+31) 0800 022 8399 MedInfo@amicusrx.com
Eesti Amicus Therapeutics Europe Limited Tel: (+372) 800 0111 911 MedInfo@amicusrx.com	Norge Amicus Therapeutics Europe Limited Tlf: (+47) 800 13837 MedInfo@amicusrx.com
Ελλάδα Amicus Therapeutics Europe Limited	Österreich Amicus Therapeutics Europe Limited

Τηλ: (+30) 00800 126 169 MedInfo@amicusrx.com	Tel: (+43) 0800 909 639 MedInfo@amicusrx.com
España Amicus Therapeutics S.L.U. Tel: (+34) 900 941 616 MedInfo@amicusrx.com	Polska Amicus Therapeutics Europe Limited Tel.: (+48) 0080 012 15475 MedInfo@amicusrx.com
France Amicus Therapeutics SAS Tél: (+33) 0 800 906 788MedInfo@amicusrx.com	Portugal Amicus Therapeutics Europe Limited Tel: (+351) 800 812 531 MedInfo@amicusrx.com
Hrvatska Amicus Therapeutics Europe Limited Tel: (+358) 0800 222 452 MedInfo@amicusrx.com	România Amicus Therapeutics Europe Limited Tel.: (+40) 0808 034 288 MedInfo@amicusrx.com
Ireland Amicus Therapeutics Europe Limited Tel: (+353) 1800 936 230 MedInfo@amicusrx.com	Slovenija Amicus Therapeutics Europe Limited Tel.: (+386) 0800 81794 MedInfo@amicusrx.com
Ísland Amicus Therapeutics Europe Limited Sími: (+354) 800 7634 MedInfo@amicusrx.com	Slovenská republika Amicus Therapeutics Europe Limited Tel: (+421) 0800 002 437 MedInfo@amicusrx.com
Italia Amicus Therapeutics S.r.l. Tel: (+39) 800 795 572 MedInfo@amicusrx.com	Suomi/Finland Amicus Therapeutics Europe Limited Puh/Tel: (+358) 0800 917 780 MedInfo@amicusrx.com
Κύπρος Amicus Therapeutics Europe Limited Τηλ: (+357) 800 97595 MedInfo@amicusrx.com	Sverige Amicus Therapeutics Europe Limited Tfn: (+46) 020 795 493 MedInfo@amicusrx.com
Latvija Amicus Therapeutics Europe Limited Tel: (+371) 800 05391 MedInfo@amicusrx.com	United Kingdom (Northern Ireland) Amicus Therapeutics, UK Limited Tel: (+44) 08 0823 46864 MedInfo@amicusrx.com

Denna bipacksedel ändrades senast 03/2023

Övriga informationskällor

Ytterligare information om detta läkemedel finns på Europeiska läkemedelsmyndighetens webbplats <http://www.ema.europa.eu>. Där finns också länkar till andra webbplatser rörande sällsynta sjukdomar och behandlingar.

Följande uppgifter är endast avsedda för hälso- och sjukvårdspersonal:

Bruksanvisning – rekonstitution, spädning och administrering

Pombiliti måste beredas med vatten för injektionsvätskor, sedan spädas med natriumklorid 9 mg/ml (0,9 %) injektionsvätska, lösning och sedan administreras genom intravenös infusion. Rekonstitution och spädning ska göras enligt god klinisk praxis, särskilt med avseende på aseptik.

Eftersom detta läkemedel är ett protein kan det bildas partiklar i den rekonstituerade lösningen och i de slutligt utspädda infusionspåsar. Därför bör ett lågproteinbindande inline-filter på 0,2 mikrometer användas för administrering. Det har visats att användning av ett in-line-filter på 0,2 mikrometer avlägsnar synliga partiklar utan att leda till någon uppenbar förlust av protein eller aktivitet.

Bestäm antalet injektionsflaskor som ska beredas baserat på den enskilda patientens dosregim (mg/kg) och ta ut de injektionsflaskor som behövs ur kylskåpet för att låta dem uppnå rumstemperatur (cirka 30 minuter). Varje injektionsflaska med Pombiliti är endast avsedd för engångsbruk.

Använd aseptisk teknik.

Rekonstitution

Varje injektionsflaska med 105 mg Pombiliti rekonstitueras med 7,2 ml vatten för injektionsvätskor med hjälp av en spruta med en nåldiameter på högst 18 gauge. Tillsätt vattnet för injektionsvätskor genom att långsamt låta det droppa längs insidan av injektionsflaskan och inte direkt ner på det frystorkade pulvret. Luta och rulla varje injektionsflaska försiktigt. Flaskorna får inte vändas, snurras eller skakas. Den färdigberedda lösningen är klar till opalskimrande, färglös till svagt gul lösning, fri från främmande partiklar och praktiskt taget fri från partiklar i form av vita till genomskinliga partiklar. Inspektera omedelbart de beredda injektionsflaskorna med avseende på partiklar och missfärgning. Använd inte om andra främmande partiklar än de som beskrivs ovan observeras vid omedelbar inspektion eller om den beredda lösningen är missfärgad. Den rekonstituerade lösningen har ett pH-värde på cirka 6,0.

Efter rekonstitution rekommenderas omedelbar spädning av injektionsflaskorna (se nedan).

Spädning

Efter rekonstitution enligt ovan innehåller den färdigberedda lösningen i injektionsflaskan 15 mg cipaglukosidas alfa per ml. Den rekonstituerade volymen möjliggör exakt uppdragning av 7,0 ml (motsvarande 105 mg) från varje injektionsflaska. Detta ska sedan spädas ytterligare enligt följande: Dra långsamt upp den rekonstituerade lösningen från varje injektionsflaska, men mindre än 7,0 ml för den sista injektionsflaskan, tills volymen för patientens dos erhållits. Använd en spruta med en nåldiameter på högst 18 gauge. Den rekommenderade slutliga koncentrationen av cipaglukosidas alfa i infusionspåsar är mellan 0,5 mg/ml och 4 mg/ml. Avlägsna luften inne i infusionspåsen. Avlägsna även en lika stor mängd natriumklorid 9 mg/ml (0,9 %) injektionsvätska, lösning, som kommer att ersättas med rekonstituerat Pombiliti. Injicera långsamt rekonstituerat Pombiliti direkt i natriumklorid 9 mg/ml (0,9 %) injektionsvätska, lösning. Vänd infusionspåsen försiktigt eller kläm på den för att blanda den utspädda lösningen. Skaka eller ruska inte på infusionspåsen.

Den slutliga infusionslösningen ska administreras så snart som möjligt efter spädning.

Ej använt läkemedel och avfall ska kasseras enligt gällande anvisningar.

Administrering

Infusionen med Pombiliti ska starta 1 timme efter att miglustatkapslarna tagits. Om infusionen skulle bli fördröjd ska den inte påbörjas senare än 3 timmar efter intaget av miglustat.

Rekommenderad dos Pombiliti är 20 mg/kg kroppsvikt administrerat en gång varannan vecka som intravenös infusion.

Infusioner ska administreras i stegvist ökande takt. Det rekommenderas att infusionen inleds med en initial hastighet på 1 mg/kg/timme och gradvis ökas med 2 mg/kg/timme var 30:e minut om inga tecken på infusionsrelaterade reaktioner föreligger, tills en högsta hastighet på 7 mg/kg/timme har uppnåtts.