

Informatie voor patiënten met de ziekte van Pompe die thuisinfusie met cipaglucosidase alfa krijgen

POMBILITI (CIPAGLUCOSIDASE ALFA)

▼ Dit medicijn staat onder extra toezicht.

INFUSIEBEHANDELING MET CIPAGLUCOSIDASE ALFA THUIS

Lees goed de hele bijsluiter voordat u dit geneesmiddel gaat gebruiken want er staat belangrijke informatie in voor u.

Wat is cipaglucosidase alfa?

Cipaglucosidase alfa is de werkzame stof in het medicijn. Het is een soort 'enzymvervangende therapie (ERT)' die wordt gebruikt bij de behandeling van volwassenen met de ziekte van Pompe bij wie de eerste ziekteverschijnselen op volwassen leeftijd zijn begonnen.

Hoe wordt dit middel gebruikt?

Cipaglucosidase alfa wordt altijd gebruikt met een ander geneesmiddel met de werkzame stof miglustat, beschikbaar als 65 mg harde capsules. Het is heel belangrijk dat u ook de bijsluiter van miglustat leest.

Deze brochure voor patiënten/verzorgers bevat de volgende informatie:

- **Informatie over tekenen en symptomen die verband houden met een reactie op de infusie, en aanbevolen acties om de bijwerkingen te stoppen of te behandelen als zich symptomen voordoen.**
- **Een Infusiedagboek dat kan worden gebruikt om de gegevens over iedere infusie op te schrijven, en eventuele reacties op de infusie te noteren, waaronder allergie-achtige overgevoelighedsreacties voor, tijdens of na de infusie.**

BELANGRIJK

Deze patiënten handleiding bevat belangrijke veiligheidsinformatie. U moet deze informatie kennen wanneer u wordt behandeld met cipaglucosidase alfa/miglustat. Lees al deze informatie goed door, voordat u met thuisinfusie begint.

Bewaar deze informatie op een gemakkelijk toegankelijke plaats; misschien moet u ze later nog eens lezen.

- Heeft u nog vragen? Neem dan contact op met uw behandelend arts.
- Geef dit geneesmiddel niet door aan anderen, want het is alleen aan u voorgeschreven. Het kan schadelijk zijn voor anderen, ook al hebben zij dezelfde symptomen als u.
- Als u bijwerkingen heeft, moet u en/of uw verzorger dit aan uw arts of infuusverpleegkundige vertellen.

INHOUDSOPGAVE

1

Uw ziekte, behandeling en thuisinfusie	5
1.1 Ziekte van Pompe en behandeling	5
1.2 Thuisinfusie	6
1.3 Veiligheidsbeoordelingen (bijwerkingen en medicatiefouten)	6
1.4 Bijwerkingen melden	7

2

Organisatie van de behandeling thuis	8
2.1 Voorbehandeling en spoedbehandeling	8
2.2 Het infusiedagboek	8

3

Hoe wordt cipaglucoosidase alfa toegediend?	9
--	----------

4

Infusiedagboek voor thuisinfusie met cipaglucoosidase alfa	11
---	-----------

UW ZIEKTE, BEHANDELING EN THUISINFUSIE

Samen met uw arts heeft u besloten om te beginnen met thuisinfusiebehandeling met cipaglucosidase alfa. Dit document is bedoeld om u advies te geven over het thuis krijgen van cipaglucosidase alfa. De acties die in dit document staan, zijn een algemene leidraad. Uw arts kan de acties aanpassen naar uw situatie.

1.1

Ziekte van Pompe en behandeling

Als u de ziekte van Pompe heeft, betekent dit dat een bepaald enzym in uw lichaam niet goed werkt. Enzymen zijn een soort eiwit dat verantwoordelijk is voor het uitvoeren van verschillende taken in het lichaam. Veel van deze taken zijn betrokken bij het afbreken van stoffen in uw cellen. Het enzym van de ziekte van Pompe, α -glucosidase (ook GAA genoemd), is een van de enzymen die helpt bij het afbreken van de stof glycogeen. Wanneer het enzym niet goed werkt, blijft er te veel glycogeen in uw cellen en veroorzaakt het schade aan uw lichaam, vooral aan uw spieren. Glycogeen voorziet het lichaam van energie. Als glycogeen niet goed wordt afgebroken, kan het geleidelijk schade aan de spiercellen veroorzaken. Dit kan uw kracht en ademhaling beïnvloeden.

De ziekte van Pompe wordt meestal behandeld door het geven van een infusie met een enzymvervangend product, zodat het glycogeen zich niet in uw cellen kan ophopen. De ziekte van Pompe wordt meestal behandeld door het geven van een infusie met een enzymvervangend product zoals cipaglucosidase alfa, zodat het glycogeen zich niet in uw cellen kan ophopen. Miglustat is een capsule die u moet doorslikken vóór de intraveneuze toediening van cipaglucosidase alfa. Dit zorgt ervoor dat de enzymvervangende therapie daar komt waar het nodig is, in de spieren, en de ophoping van glycogeen kan helpen opruimen.



Lees goed de hele bijsluiter van cipaglucosidase alfa en miglustat voordat u dit geneesmiddel gaat gebruiken want er staat belangrijke informatie in voor u.

1.2

Thuisinfusie

Het kan dat mensen met de ziekte van Pompe die met cipaglucosidase alfa behandeld worden, hun infusies thuis krijgen.

- **De beslissing thuisbehandeling te krijgen moet door u en uw arts worden genomen na de eerste infusies in het ziekenhuis, om er zeker van te zijn dat de infusie probleemloos verloopt. Normaal gesproken zal uw arts er zeker van willen zijn dat u de infusies in een ziekenhuis gedurende een paar maanden goed verdraagt voordat de arts besluit dat u in aanmerking komt voor thuisinfusie.**

Met thuisinfusie van cipaglucosidase alfa krijgt u een behandeling in uw eigen huis, wat de infusie prettiger en de afspraken voor de infusie makkelijker maakt. Hierdoor hoeft u niet naar het ziekenhuis te komen, en de thuisinfusie kan in de buurt van familie en vrienden gebeuren.

- **De thuisinfusie vindt plaats onder leiding van uw behandelend arts en wordt toegediend door een getrainde infusiezorgverlener/-verpleegkundige (verpleegkundige) die u tijdens en na elke infusie zal controleren.**

- **Opmerking: De dosis en snelheid van de infusie bij u thuis moeten hetzelfde zijn als uw behandelend arts heeft voorgeschreven in het infusiedagboek. Ze mogen niet worden veranderd zonder eerst toestemming van uw behandelend arts te krijgen en moet door de infusiezorgverlener/-verpleegkundige gebeuren.**

1.3

Veiligheidsbeoordelingen (bijwerkingen en medicatiefouten)

Zoals elk geneesmiddel kan ook dit geneesmiddel bijwerkingen hebben, al krijgt niet iedereen daarmee te maken. De meest voorkomende bijwerkingen gebeuren tijdens of kort na het infuus. Sommige van deze infusiegerelateerde bijwerkingen kunnen ernstig en levensbedreigend worden.

- **Symptomen van ernstige of levensbedreigende infusiegerelateerde reacties zijn onder meer:**

Moeite met ademen, opgeblazen gevoel, koorts, koude rillingen, duizeligheid, rode huid, jeukende huid en uitslag

- **Symptomen van ernstige of levensbedreigende allergische reacties zijn onder meer:**

uitslag, gezwollen ogen, langdurige moeite met ademen, hoesten, zwelling van de lippen, tong of keel, jeukende huid en netelroos

1.3

Uw arts kan besluiten de infusiesnelheid te verlagen of u aanvullende geneesmiddelen voor te schrijven om te voorkomen dat de bijwerking opnieuw optreden.



In de de bijsluiter staan alle bijwerkingen die gemeld zijn na een infuus met cipaglucoSIDase alfa.

- **Als u zich tijdens de thuisinfusie of kort na de infusie niet goed voelt door de medicatie, moet u uw verpleegkundige vragen om het infuus onmiddellijk te stoppen. Er moet dan onmiddellijk contact worden opgenomen met de arts of de hulpdiensten (zie instructies in het infusiedagboek). Uw arts zal met u bespreken welke acties nodig zijn.**
- **Als u zich om een andere reden onwel voelt (bijvoorbeeld omdat u verkouden bent of griepachtige verschijnselen heeft), moet u dit aan uw arts of verpleegkundige vertellen. Het kan zijn dat uw infusie moet worden uitgesteld als u zich onwel voelt, dit is voor uw eigen veiligheid.**
- **Eventuele symptomen of bijwerkingen moeten ook in het infusiedagboek genoteerd worden.**

Als u merkt dat er een fout is gemaakt bij de bereiding en/of toediening van cipaglucoSIDase alfa, vertel dit dan onmiddellijk aan de verpleegkundige of de arts. Hij/zij zal de gepaste maatregelen bepalen voordat u met de infusie begint of doorgaat. Neem contact op met uw arts als u denkt dat de behandeling niet goed werkt.

1.4

Bijwerkingen melden

Sommige mensen kunnen bijwerkingen krijgen bij het gebruik van deze geneesmiddelen. Praat met uw arts, verpleegkundige of andere zorgverlener als u ongewenste bijwerkingen heeft. Dit geldt ook voor mogelijke bijwerkingen die niet in de bijsluiter staan.



▼ Dit medicijn staat onder extra toezicht. Dit zorgt ervoor dat we snel nieuwe informatie over de veiligheid van dit medicijn verkrijgen.

Neem contact op met uw arts als u last krijgt van bijwerkingen. Doe dit ook bij bijwerkingen die niet in de bijsluiter staan. U kunt bijwerkingen melden via het Nederlands Bijwerkingencentrum Lareb, website: www.lareb.nl. Door bijwerkingen te melden helpt u ons aan meer informatie over de veiligheid van dit medicijn.

U kunt bijwerkingen ook melden door te bellen naar Tel: (+31) 20 235 8510 / (+31) 0800 022 8399 of een e-mail te sturen naar: drugsafety@amicusrx.com.

Meer informatie

**Deze informatie is ook terug te vinden op <web address of online material >
Lees de bijsluiter voor meer informatie over uw medicijn op www.geneesmiddeleninformatiebank.nl.
Ga met vragen over uw medicijn naar uw arts of apotheker.
Dit materiaal is goedgekeurd door het Nederlandse College ter Beoordeling van Geneesmiddelen (www.cbg-meb.nl).**

ORGANISATIE VAN DE BEHANDELING THUIS

De behandeling thuis moet worden georganiseerd onder toezicht van de behandelend arts. Uw behandelend arts is verantwoordelijk voor het organiseren van de behandeling thuis. De processen die in dit document worden beschreven, dienen als algemene leidraad, maar kunnen worden aangepast aan de lokale medische praktijk en de nationale wet- en regelgeving.

2.1

Voorbehandeling en spoedbehandeling

- Indien nodig zal uw arts medicatie voor voorbehandeling voorschrijven. Uw arts zal de informatie over deze medicatie in het infusiedagboek schrijven.
- Uw arts zal medicatie voorschrijven voor noodsituaties, indien nodig. Uw arts zal de informatie over deze medicatie in het infusiedagboek schrijven. Deze noodmedicatie moet altijd tijdens de infusies thuis beschikbaar zijn.

2.2

Het infusiedagboek

- Uw arts heeft u een infusiedagboek gegeven. Dit infusiedagboek is een communicatiemiddel voor iedereen die betrokken is bij het thuis toedienen van cipaglucozidase alfa.
- Bewaar het infusiedagboek bij u thuis. U, uw verzorger(s), uw arts en/of de verpleegkundige moeten het infusiedagboek bijhouden.
- De dosis en infusiesnelheid van cipaglucozidase alfa staan in het infusiedagboek beschreven. Deze dosis en infusiesnelheid moeten strikt worden gevolgd. De arts is verantwoordelijk voor het beschrijven van de dosis en de infusiesnelheid in het infusiedagboek. De arts is ook verantwoordelijk voor eventuele wijzigingen in het infusiedagboek.
- Elke toediening van cipaglucozidase alfa thuis moet in het infusiedagboek worden opgeschreven.
- U en/of uw verzorger(s) moeten bij elke afspraak het infusiedagboek meenemen naar het ziekenhuis voor controle en het daarna mee terug naar huis nemen.

- De verpleegkundige schrijft de bevindingen en acties uit het eerste gesprek in het infusiedagboek.
U, uw verzorger(s) of de verpleegkundige schrijft alle relevante informatie van daaropvolgende bezoeken in het infusiedagboek.
- De arts schrijft duidelijk in het infusiedagboek wat er gedaan en toegediend moet worden bij een infusiebijwerking.
Als u een reactie op een infusie heeft, moet de infusie worden stopgezet.
- Elke infusiegerelateerde bijwerking en/of medicatiefout moet in het infusiedagboek worden geschreven.

3

HOE WORDT CIPAGLUCOSIDASE ALFA TOEGEDIEND?

3.1

Hoe worden cipaglucosidase alfa en miglustat toegediend?

WAT GEBEURT ER BIJ ELKE BEHANDELING?

- U krijgt een bepaald aantal miglustat capsules van 65 mg, afhankelijk van uw lichaamsgewicht. Uw zorgverlener zal u vertellen hoeveel capsules u moet innemen, of deze aan u geven, vóór aanvang van elke infusie met alpaglucosidase alfa. Neem de miglustat ongeveer 1 uur vóór uw infusie in.

NIET ETEN / DRINKEN

- Om ervoor te zorgen dat miglustat (de stabilisator) goed werkt, is het heel belangrijk dat u 2 uur vóór en 2 uur na de inname van miglustat nuchter bent en in totaal 4 uur niets eet.

U mag alleen water, koolzuurhoudend water, thee of koffie drinken zonder melk of suiker.

De miglustat capsules moeten in hun geheel worden doorgeslikt en mogen niet worden gesneden, geplet of gekauwd.

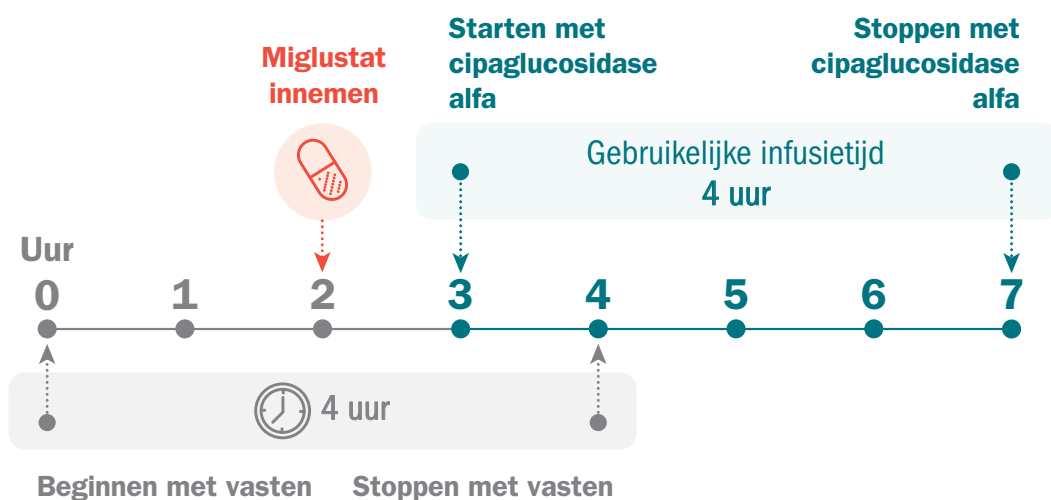
INFUSIE

- Ongeveer een uur na het innemen van de capsules miglustat begint uw infusie met cipaglucosidase alfa. Cipaglucosidase alfa wordt u toegediend door een arts of verpleegkundige. Het wordt toegediend via een infuus in een ader in uw arm of Port-A-Cath (implanteerbare toedieningspoort) Dit wordt een 'intraveneuze infusie' genoemd.

3.1

- Zodra de hele infusie is toegediend, worden de slangetjes gespoeld om er zeker van te zijn dat u alles toegediend heeft gekregen.
- Als u vragen heeft over uw infusie, neem dan contact op met uw arts.

Afbeelding 1. Dosering tijdlijn



UW INFUSIEDAGBOEK VOOR

thuisinfusie met

cipaglucoosidase alfa

▼ Dit medicijn staat onder extra toezicht. Dit zorgt ervoor dat we snel nieuwe informatie over de veiligheid van dit medicijn verkrijgen.

Neem contact op met uw arts als u last krijgt van bijwerkingen. Doe dit ook bij bijwerkingen die niet in de bijsluiter staan. U kunt bijwerkingen melden via het Nederlands Bijwerkingencentrum Lareb, website: www.lareb.nl. Door bijwerkingen te melden helpt u ons aan meer informatie over de veiligheid van dit medicijn.

U kunt bijwerkingen ook melden door te bellen naar Tel: (+31) 20 235 8510 / (+31) 0800 022 8399 of een e-mail te sturen naar: drugsafety@amicusrx.com.

TOEDIENINGSGEGEVENS (IN TE VULLEN DOOR DE BEHANDELEND ARTS)

Datum van eerste toediening

Eerste infusie thuis

TOEDIENINGSSCHEMA CIPAGLUCOSIDASE ALFA/MIGLUSTAT

Dosis miglustat

Dosis cipagluco­sidase alfa

Frequentie

Infusiesnelheid

Vereist gereconstitueerd volume (ml)

Totaal volume in infusie­zak (ml)

Voorbehandelingsmedicatie
(indien van toepassing)Redenen voor thuisinfusie met
cipagluco­sidase alfaBevindingen en acties uit het eerste
gesprekGeef aan welke ondersteuning
door de infusiezorgverlener/
-verpleegkundige thuis moet
worden verstrekt

NOODZAKELIJKE MAATREGELEN IN GEVAL VAN EEN ERNSTIGE INFUSIEGERELATEERDE REACTIE OF OVERGEVOELIGHEIDSREACTIE

(IN TE VULLEN DOOR DE BEHANDELEND ARTS)

1

STOP de infusie

2

Bel de hulpdiensten

3

Bel uw behandelend arts

Telefoonnummer

Telefoonnummer (24-uurs)

Naam van de arts

Naam van het ziekenhuis

Totaal volume in infusiezak (ml)

Adres

4

Noodmedicatie

Medicatie, inclusief dosis

5

Contactpersoon van de patiënt die op de hoogte moet worden gebracht

Naam

Telefoon

VUL DIT FORMULIER IN VOOR ELKE INFUSIESESSIE

De patiënt en/of verzorger(s) zijn op de hoogte van de risico's in verband met thuisinfusie met cipaglucozidase alfa en hebben degelijke voorlichting gekregen over het gebruik van noodmedicatie. In geval van een infusiegerelateerde reactie moet de infusie onmiddellijk worden stopgezet. De noodzakelijke maatregelen in geval van een ernstige infusiegerelateerde reactie, inclusief contactgegevens voor noodgevallen, worden in dit infusiedagboek beschreven. Houd deze informatie tijdens de infusieprocedure bij de hand.

Datum van eerste toediening	
Eerste infusie thuis	

INFUSIESESSIE

Datum van infusie	
Infusiezorgverlener/-verpleegkundige	
Verzorger, indien aanwezig	

DOSIS

Dosis miglustat	
Tijdstip van dosis miglustat	
Dosis cipaglucozidase alfa	
Gewicht patiënt (kg)	
Partij-/lotnummer van cipaglucozidase alfa	
Starttijdstip van infusie met cipaglucozidase alfa	
Vereist gereconstitueerd volume (ml)	
Aantal gebruikte injectieflacons	
Infusieduur	
Infusiesnelheid/-snelheden	

Problemen/opmerkingen in verband met de infusie (inclusief infusiegerelateerde reactie(s), ondernomen actie en resultaat):

Geef aan welke ondersteuning door de infusiezorgverlener/-verpleegkundige thuis moet worden verstrekt:

VUL DIT FORMULIER IN VOOR ELKE INFUSIESESSIE

De patiënt en/of verzorger(s) zijn op de hoogte van de risico's in verband met thuisinfusie met cipaglucozidase alfa en hebben degelijke voorlichting gekregen over het gebruik van noodmedicatie. In geval van een infusiegerelateerde reactie moet de infusie onmiddellijk worden stopgezet. De noodzakelijke maatregelen in geval van een ernstige infusiegerelateerde reactie, inclusief contactgegevens voor noodgevallen, worden in dit infusiedagboek beschreven. Houd deze informatie tijdens de infusieprocedure bij de hand.

Datum van eerste toediening	
Eerste infusie thuis	

INFUSIESESSIE

Datum van infusie	
Infusiezorgverlener/-verpleegkundige	
Verzorger, indien aanwezig	

DOSIS

Dosis miglustat	
Tijdstip van dosis miglustat	
Dosis cipaglucozidase alfa	
Gewicht patiënt (kg)	
Partij-/lotnummer van cipaglucozidase alfa	
Starttijdstip van infusie met cipaglucozidase alfa	
Vereist gereconstitueerd volume (ml)	
Aantal gebruikte injectieflacons	
Infusieduur	
Infusiesnelheid/-snelheden	

Problemen/opmerkingen in verband met de infusie (inclusief infusiegerelateerde reactie(s), ondernomen actie en resultaat):

Geef aan welke ondersteuning door de infusiezorgverlener/-verpleegkundige thuis moet worden verstrekt:

VUL DIT FORMULIER IN VOOR ELKE INFUSIESESSIE

De patiënt en/of verzorger(s) zijn op de hoogte van de risico's in verband met thuisinfusie met cipaglucoïdase alfa en hebben degelijke voorlichting gekregen over het gebruik van noodmedicatie. In geval van een infusiegerelateerde reactie moet de infusie onmiddellijk worden stopgezet. De noodzakelijke maatregelen in geval van een ernstige infusiegerelateerde reactie, inclusief contactgegevens voor noodgevallen, worden in dit infusiedagboek beschreven. Houd deze informatie tijdens de infusieprocedure bij de hand.

Datum van eerste toediening	
Eerste infusie thuis	

INFUSIESESSIE

Datum van infusie	
Infusiezorgverlener/-verpleegkundige	
Verzorger, indien aanwezig	

DOSIS

Dosis miglustat	
Tijdstip van dosis miglustat	
Dosis cipaglucoïdase alfa	
Gewicht patiënt (kg)	
Partij-/lotnummer van cipaglucoïdase alfa	
Starttijdstip van infusie met cipaglucoïdase alfa	
Vereist gereconstitueerd volume (ml)	
Aantal gebruikte injectieflacons	
Infusieduur	
Infusiesnelheid/-snelheden	

Problemen/opmerkingen in verband met de infusie (inclusief infusiegerelateerde reactie(s), ondernomen actie en resultaat):

Geef aan welke ondersteuning door de infusiezorgverlener/-verpleegkundige thuis moet worden verstrekt:

VUL DIT FORMULIER IN VOOR ELKE INFUSIESESSIE

De patiënt en/of verzorger(s) zijn op de hoogte van de risico's in verband met thuisinfusie met cipaglucoïdase alfa en hebben degelijke voorlichting gekregen over het gebruik van noodmedicatie. In geval van een infusiegerelateerde reactie moet de infusie onmiddellijk worden stopgezet. De noodzakelijke maatregelen in geval van een ernstige infusiegerelateerde reactie, inclusief contactgegevens voor noodgevallen, worden in dit infusiedagboek beschreven. Houd deze informatie tijdens de infusieprocedure bij de hand.

Datum van eerste toediening	
Eerste infusie thuis	

INFUSIESESSIE

Datum van infusie	
Infusiezorgverlener/-verpleegkundige	
Verzorger, indien aanwezig	

DOSIS

Dosis miglustat	
Tijdstip van dosis miglustat	
Dosis cipaglucoïdase alfa	
Gewicht patiënt (kg)	
Partij-/lotnummer van cipaglucoïdase alfa	
Starttijdstip van infusie met cipaglucoïdase alfa	
Vereist gereconstitueerd volume (ml)	
Aantal gebruikte injectieflacons	
Infusieduur	
Infusiesnelheid/-snelheden	

Problemen/opmerkingen in verband met de infusie (inclusief infusiegerelateerde reactie(s), ondernomen actie en resultaat):

Geef aan welke ondersteuning door de infusiezorgverlener/-verpleegkundige thuis moet worden verstrekt:

VUL DIT FORMULIER IN VOOR ELKE INFUSIESESSIE

De patiënt en/of verzorger(s) zijn op de hoogte van de risico's in verband met thuisinfusie met cipaglucoïdase alfa en hebben degelijke voorlichting gekregen over het gebruik van noodmedicatie. In geval van een infusiegerelateerde reactie moet de infusie onmiddellijk worden stopgezet. De noodzakelijke maatregelen in geval van een ernstige infusiegerelateerde reactie, inclusief contactgegevens voor noodgevallen, worden in dit infusiedagboek beschreven. Houd deze informatie tijdens de infusieprocedure bij de hand.

Datum van eerste toediening	
Eerste infusie thuis	

INFUSIESESSIE

Datum van infusie	
Infusiezorgverlener/-verpleegkundige	
Verzorger, indien aanwezig	

DOSIS

Dosis miglustat	
Tijdstip van dosis miglustat	
Dosis cipaglucoïdase alfa	
Gewicht patiënt (kg)	
Partij-/lotnummer van cipaglucoïdase alfa	
Starttijdstip van infusie met cipaglucoïdase alfa	
Vereist gereconstitueerd volume (ml)	
Aantal gebruikte injectieflacons	
Infusieduur	
Infusiesnelheid/-snelheden	

Problemen/opmerkingen in verband met de infusie (inclusief infusiegerelateerde reactie(s), ondernomen actie en resultaat):

Geef aan welke ondersteuning door de infusiezorgverlener/-verpleegkundige thuis moet worden verstrekt:

VUL DIT FORMULIER IN VOOR ELKE INFUSIESESSIE

De patiënt en/of verzorger(s) zijn op de hoogte van de risico's in verband met thuisinfusie met cipagluco­sidase alfa en hebben degelijke voorlichting gekregen over het gebruik van noodmedicatie. In geval van een infusiegerelateerde reactie moet de infusie onmiddellijk worden stopgezet. De noodzakelijke maatregelen in geval van een ernstige infusiegerelateerde reactie, inclusief contactgegevens voor noodgevallen, worden in dit infusiedagboek beschreven. Houd deze informatie tijdens de infusieprocedure bij de hand.

Datum van eerste toediening	
Eerste infusie thuis	

INFUSIESESSIE

Datum van infusie	
Infusiezorgverlener/-verpleegkundige	
Verzorger, indien aanwezig	

DOSIS

Dosis miglustat	
Tijdstip van dosis miglustat	
Dosis cipagluco­sidase alfa	
Gewicht patiënt (kg)	
Partij-/lotnummer van cipagluco­sidase alfa	
Starttijdstip van infusie met cipagluco­sidase alfa	
Vereist gereconstitueerd volume (ml)	
Aantal gebruikte injectieflacons	
Infusieduur	
Infusiesnelheid/-snelheden	

Problemen/opmerkingen in verband met de infusie (inclusief infusiegerelateerde reactie(s), ondernomen actie en resultaat):

Geef aan welke ondersteuning door de infusiezorgverlener/-verpleegkundige thuis moet worden verstrekt:

VUL DIT FORMULIER IN VOOR ELKE INFUSIESESSIE

De patiënt en/of verzorger(s) zijn op de hoogte van de risico's in verband met thuisinfusie met cipaglucozidase alfa en hebben degelijke voorlichting gekregen over het gebruik van noodmedicatie. In geval van een infusiegerelateerde reactie moet de infusie onmiddellijk worden stopgezet. De noodzakelijke maatregelen in geval van een ernstige infusiegerelateerde reactie, inclusief contactgegevens voor noodgevallen, worden in dit infusiedagboek beschreven. Houd deze informatie tijdens de infusieprocedure bij de hand.

Datum van eerste toediening	
Eerste infusie thuis	

INFUSIESESSIE

Datum van infusie	
Infusiezorgverlener/-verpleegkundige	
Verzorger, indien aanwezig	

DOSIS

Dosis miglustat	
Tijdstip van dosis miglustat	
Dosis cipaglucozidase alfa	
Gewicht patiënt (kg)	
Partij-/lotnummer van cipaglucozidase alfa	
Starttijdstip van infusie met cipaglucozidase alfa	
Vereist gereconstitueerd volume (ml)	
Aantal gebruikte injectieflacons	
Infusieduur	
Infusiesnelheid/-snelheden	

Problemen/opmerkingen in verband met de infusie (inclusief infusiegerelateerde reactie(s), ondernomen actie en resultaat):

Geef aan welke ondersteuning door de infusiezorgverlener/-verpleegkundige thuis moet worden verstrekt:

Dit materiaal beschrijft aanbevelingen om belangrijke risico's van cipaglucosidase alfa te beperken of te voorkomen. Het materiaal is beoordeeld door het College ter Beoordeling van Geneesmiddelen (CBG).

(CIPAGLUCOSIDASE ALFA)

▼ Dit geneesmiddel is onderworpen aan aanvullende monitoring.

INFUSIEBEHANDELING MET CIPAGLUCOSIDASE ALFA THUIS

Een handleiding voor zorgverleners om de risico's in verband met infusies van cipaglucosidase alfa te beperken

Therapeutische indicaties:

Cipaglucosidase alfa is een langdurige enzymsubstitutietherapie, gebruikt in combinatie met de enzymstabilisator miglustat, voor de behandeling van volwassenen met op latere leeftijd gemanifesteerde ziekte van Pompe (zure α -glucosidase [GAA] -deficiëntie).

Doel van dit materiaal:

Het educatief materiaal voor het gebruik van cipaglucosidase alfa bij thuisinfusie is gericht op het bieden van richtlijnen inzake het beheren van het risico van infusiegerelateerde reacties, waaronder allergie-achtige overgevoeligheidsreacties in een thuissituatie.

Deze brochure voor de thuisinfusie bevat de volgende hoofdpunten:

- **Details over de bereiding en toediening van cipaglucosidase alfa, waaronder alle stappen van de bereiding, reconstitutie, verdunning en toediening;**
- **Richtlijnen voor de medische evaluatie van de patiënt voorafgaand aan toediening van de infusie thuis;**
- **Informatie over tekenen en symptomen die verband houden met infusiereacties, en aanbevolen acties voor het beheer van de geneesmiddelbijwerkingen (ADR's) als zich symptomen voordoen.**

Er is extra materiaal voor de patiënt, de ouders en/of verzorgers van de patiënt. Zorgverleners worden verzocht dit materiaal aan de patiënt of zijn/haar ouders of verzorgers mee te geven.

INHOUDSOPGAVE

	Therapeutische indicaties	2
1	Inhoud en doelstellingen	4
2	Beoordelen van geschiktheid voor thuisinfusie	4
3	Vereisten en organisatie van thuisinfusie	5
	3.1 Patiënt	6
	3.2 Behandelend arts	7
	3.3 Infusiezorgverlener/-verpleegkundige	9
	3.4 Medisch onderzoek van de patiënt vóór toediening van de thuisinfusie	10
	3.5 Voorbehandeling en spoedbehandeling	11
	3.6 Het infusiedagboek	11
4	Procedure voor thuisinfusie	12
5	Bereiding en toediening van cipaglucosidase alfa	13
	5.1 Voorschrift	13
	5.2 Benodigdheden	13
	5.3 Tijdlijn tot toediening, met inbegrip van toediening van miglustat	14
	5.4 De dosering voor zowel cipaglucosidase alfa als miglustat is gebaseerd op het lichaamsgewicht	15
	5.5 Reconstitutie voorbereiden	16
	5.6 De gelyofiliseerde cake of het poeder reconstitueren	17
	5.7 De oplossing verdunnen	18
	5.8 Het infuus toedienen	19
6	Infusiegerelateerde reacties en overgevoeligheidsreacties herkennen en behandelen	20
7	Veiligheidsrapportage en overige informatie	23

INHOUD EN DOELSTELLINGEN

Infusietherapie met cipaglucosidase alfa in combinatie met miglustat is beschikbaar voor de behandeling van patiënten met de ziekte van Pompe. Om de behandeling te vergemakkelijken en de kwaliteit van leven te verbeteren, kan de intraveneuze behandeling bij de patiënt thuis worden toegediend als aan specifieke vereisten kan worden voldaan.

Over deze handleiding

Het doel van deze handleiding voor artsen en zorgverleners is het risico op medicatiefouten te beperken wanneer cipaglucosidase alfa thuis wordt toegediend, en om duidelijke richtlijnen te geven over het volgende:

- **Welke patiënten mogelijk in aanmerking komen voor thuisinfusie en hoe de thuisinfusies, met inbegrip van premedicatie en noodbehandeling van infusiereacties kunnen worden georganiseerd;**
- **Bereiding, reconstitutie en toediening van het product thuis;**
- **Herkennen en behandelen van bijwerkingen, met inbegrip van infusiegerelateerde reacties, en mogelijke maatregelen voor de behandeling van bijwerkingen wanneer symptomen optreden.**

De thuisinfusie vindt plaats onder de verantwoordelijkheid van de behandelend arts. Het voorlichtingsmateriaal voor patiënten mag alleen worden verstrekt als de behandelend arts besluit dat de patiënt in aanmerking komt voor behandeling met thuisinfusie.

De processen die in dit document worden beschreven, dienen als algemene leidraad, maar zijn onderworpen aan de lokale medische praktijk en nationale wet- en regelgeving.

BEOORDELEN VAN GESCHIKTHEID VOOR THUISINFUSIE

De beslissing om een patiënt op thuisinfusie te laten overstappen moet worden genomen na een beoordeling en op aanbeveling van de behandelend arts. Infusie van cipaglucosidase alfa thuis kan worden

overwogen voor patiënten die goed reageren op hun infusies en al een paar maanden geen voorgeschiedenis hebben van matige of ernstige infusiereacties. Bij de beoordeling van de patiënt op geschiktheid voor thuisinfusie moet rekening worden gehouden met de onderliggende comorbiditeiten van de patiënt en zijn of haar vermogen om aan de vereisten voor thuisinfusie te voldoen. Voordat er afspraken worden gemaakt, moet de behandelend arts bepalen of de patiënt voldoet aan de volgende primaire criteria voor thuisinfusie:

(ZIE OOK DE VOORSCHRIJFINFORMATIE)

- **De patiënt mag geen huidige gelijktijdige aandoening hebben die, naar het oordeel van de arts, invloed kan hebben op het vermogen van de patiënt om de infusie te verdragen.**
- **De patiënt wordt beschouwd als medisch stabiel. Er moet een uitgebreide evaluatie worden gedaan voordat de thuisinfusie wordt gestart.**
- De patiënt moet gedurende een paar maanden cipaglucozidase alfa-infusies onder toezicht van een arts met ervaring in de behandeling van patiënten met de ziekte van Pompe hebben gekregen in het ziekenhuis. Documentatie van een patroon van goed verdragen infusies is een eerste vereiste voor de start van thuisinfusies.
- De patiënt moet een voorgeschiedenis hebben van naleving van het voorgeschreven doseringsschema en de vereisten voor nuchter blijven voor miglustat.
- De patiënt moet bereid en in staat zijn om de procedures voor thuisinfusie op te volgen.
- Voor de thuisinfusie moeten infrastructuur, middelen, en procedures, met inbegrip van training, worden opgesteld en beschikbaar zijn voor de zorgprofessional. De zorgprofessional moet altijd beschikbaar zijn tijdens de thuisinfusie en voor een bepaalde tijd na de infusie, afhankelijk van de verdraagbaarheid van de patiënt vóór aanvang van de thuisinfusie.

VEREISTEN EN ORGANISATIE VAN THUISINFUSIE

Patiënt

ALGEMEEN

- De patiënt en/of verzorger(s) **zijn door de behandelend arts geïnformeerd over de thuisbehandeling, de risico's van een behandeling thuis** (zoals overgevoeligheidsreacties, infusiegerelateerde reacties en medicatiefouten) en moeten akkoord gaan met een behandeling thuis.
- De patiënt en/of verzorger(s) **begrijpen de ziekte en kunnen bijwerkingen zoals overgevoeligheidsreacties en infusiegerelateerde reacties herkennen**, en begrijpen welke procedure moet worden gevolgd als ze zich voordoen.
- **De thuisomgeving moet bevorderlijk zijn voor thuisinfusietherapie.** Dit omvat een schone omgeving met elektriciteit, water, telefoontoegang, koeling en fysieke ruimte om miglustat en eventuele infusiebenodigheden en -apparatuur te bewaren.
- De patiënt en/of verzorger(s) **begrijpen dat cipaglucosidase alfa altijd in combinatie met miglustat moet worden toegediend**, en dat miglustat altijd 1 uur vóór de infusie met cipaglucosidase alfa moet worden toegediend.
- De patiënt is **ervan op de hoogte gebracht dat de infusie door een verpleegkundige of een andere zorgverlener wordt toegediend.**
- **Patiënten die bijwerkingen ondervinden (of de verzorger van de patiënt) moeten de thuisinfusiearts/-verpleegkundige hiervan op de hoogte brengen of onmiddellijk contact opnemen met de behandelend arts.** Het kan nodig zijn daaropvolgende infusies in een ziekenhuis of een andere medische omgeving toe te dienen.

MEDISCH

- De patiënt moet **lichamelijk en geestelijk in staat zijn** om de infusies thuis te ondergaan.
- De patiënt heeft **veneuze toegang of een hulpmiddel voor centraal veneuze toegang** dat adequate infusie mogelijk maakt.

Patiënten met een acute onderliggende luchtwegaandoening of een aangetaste hart- en/of ademhalingsfunctie

Patiënten met een acute onderliggende ademhalingsziekte of een aangetaste hart- en/of ademhalingsfunctie kunnen tijdens infusies het risico lopen op ernstige verergering van hun hart- of ademhalingsfunctie. Tijdens de infusie met cipaglucozidase alfa moeten geschikte medische ondersteunings- en bewakingsmaatregelen beschikbaar zijn.

Patiënten met een bijzonder risico op infusiegerelateerde reacties zijn onder meer:

- Patiënten die op het moment van de infusie een acute ziekte hebben. Dit moet vóór aanvang van de infusie met de behandelend arts worden besproken. Het kan in dat geval noodzakelijk zijn de patiënt gedurende langere tijd extra te bewaken.
- Patiënten met een gevorderde ziekte van Pompe en een verminderde hart- en ademhalingsfunctie. Bij dergelijke patiënten kunnen tijdens de infusie reanimatiemaatregelen nodig zijn. Geschikte maatregelen voor medische ondersteuning en bewaking moeten worden uitgevoerd in overeenstemming met de door de arts verstrekte informatie.
- Patiënten met een risico op volumeoverbelasting (bijv. verminderde hart- en/of ademhalingsfunctie). Deze patiënten lopen het risico op infusiegerelateerde volumeoverbelasting, wat kan leiden tot een ernstige verslechtering van hun hart- of ademhalingsaandoening, tot zelfs hart- en longfalen. Tijdens de infusie moeten naar het oordeel van de arts passende maatregelen voor medische ondersteuning en bewaking beschikbaar zijn en sommige patiënten moeten mogelijk gedurende een langere periode worden bewaakt, zoals bepaald door de arts.

3.2

Behandelend arts

- **De thuisinfusie vindt plaats onder de verantwoordelijkheid van de behandelend arts.** Het voorlichtingsmateriaal voor de infusiezorgverlener/-verpleegkundige en de patiënt/verzorgers(s) mag uitsluitend worden verstrekt als de behandelend arts besluit dat de patiënt in aanmerking komt voor behandeling met thuisinfusie. Het is de verantwoordelijkheid van de behandelend arts om **een veilige toediening aan de patiënt te garanderen om het risico op medicatiefouten en infusiegerelateerde reacties, waaronder overgevoeligheds- en anafylactische reacties, te voorkomen.** Dit moet door de behandelend arts worden gecontroleerd en gedocumenteerd.

- De behandelend arts **beslist of** de toediening thuis aan een infusiearts/-verpleegkundige wordt **gedelegeerd en, zo ja, ziet hij of zij erop toe dat de toediening van het geneesmiddel en de nodige bewaking van de patiënt, premedicatie en noodbehandeling veilig zijn opgezet.**
- Als de toediening van het geneesmiddel wordt gedelegeerd, is het de verantwoordelijkheid van de behandelend arts om:
Training en informatie te verstrekken aan de zorgverleners/verpleegkundigen (of ervoor zorgen dat ze voldoende gekwalificeerd zijn) en aan de patiënten en/of verzorgers;
- De juiste dosis en infusiesnelheid van cipaglucozidase alfa te bepalen;
- Een individueel noodplan op te stellen met nauwkeurige instructies en contactmogelijkheden;
- De benodigde infusiematerialen en geschikte premedicatie en noodmedicatie te bepalen;
- Zorgverleners/verpleegkundigen de juiste dosering, infusiesnelheid en maatregelen te verstrekken, en op het hart te drukken dat het individueel opgestelde noodplan niet mag worden gewijzigd zonder expliciete instructies van de behandelend arts.
- Eventuele wijzigingen moeten duidelijk worden gecommuniceerd aan de patiënt en/of verzorger(s) en aan de zorgverlener die toezicht houdt op de bereiding en toediening van cipaglucozidase alfa. Aanbevolen wordt dat de behandelend arts al deze maatregelen en de implementatie ervan in het infusiedagboek noteert.
- De behandelend arts is verantwoordelijk voor **het initiëren van alle noodzakelijke administratieve acties**, die het de andere betrokken partijen (patiënt en/of verzorger(s), infusiearts/-verpleegkundige, apotheek), mogelijk maken hun taken uit te voeren.
- De behandelend arts is **verantwoordelijk voor het verstrekken van de “Informatie voor patiënten met de ziekte van Pompe die een thuisinfusie met cipaglucozidase alfa krijgen”, met inbegrip van het infusiedagboek, aan de patiënt.** De infusiesnelheid van cipaglucozidase alfa die door de patiënt in een meer gecontroleerde omgeving werd verdragen (bijvoorbeeld in het ziekenhuis of een andere medische omgeving) mag thuis niet worden gewijzigd, tenzij dit uit veiligheidsoverwegingen noodzakelijk is. Eventuele wijzigingen in de toediening van cipaglucozidase alfa moeten duidelijk in het infusiedagboek worden genoteerd.

- Indien in het ziekenhuis of in een andere medische omgeving pre-infusiebehandeling wordt toegediend (bijv. antihistaminica, antipyretica en/of corticosteroïden), moet die **op basis van het patiëntspecifieke voorschrift worden toegediend en in het infusiedagboek worden beschreven**. Deze behandeling mag in de thuisomgeving niet worden gewijzigd, tenzij dit naar het oordeel van de behandelend arts medisch gerechtvaardigd is.
- Spoedbehandelingen moeten **op basis van het patiëntspecifieke voorschrift worden toegediend en in het infusiedagboek worden beschreven**.
- De behandelend arts moet **ervoor zorgen dat een snelle en betrouwbare communicatielijn** naar de infusiearts/-verpleegkundige beschikbaar is in geval de patiënt die een thuisinfusie ontvangt een infusiegerelateerde reactie ervaart of medisch advies nodig is.
- Het is de verantwoordelijkheid van de behandelend arts, **de toestand van de patiënt die een thuisinfusie krijgt regelmatig op te volgen**.
- **Een goede planning en bewaking van de infusies** is de verantwoordelijkheid van de behandelend arts en de infusiezorgverlener/-verpleegkundige.
- **De behandelend arts moet, in overleg met de infusiearts/-verpleegkundige, alle vermoedelijke bijwerkingen en medicatiefouten melden aan Amicus Therapeutics, zoals beschreven in paragraaf 7.**

3.3

Infusiezorgverlener/-verpleegkundige

- De infusiearts/-verpleegkundige heeft een **coördinerende rol** met betrekking tot de behandelend arts en de patiënt en/of verzorger(s) bij het organiseren van de behandeling thuis, en stelt samen met de behandelend arts, patiënt en/of verzorger(s) het niveau van ondersteuning vast dat thuis nodig is.
- Staat in **nauw contact met de behandelend arts** zoals overeengekomen en houdt de arts regelmatig op de hoogte van het verloop van de behandeling.
- De infusiearts/-verpleegkundige is **gekwalificeerd om IV infusies te geven, voldoende opgeleid in de toediening van cipaglucozidase alfa in combinatie met miglustat, en getraind in de mogelijke bijwerkingen** (met inbegrip van ernstige bijwerkingen zoals anafylactoïde reacties) **en de te ondernemen maatregelen** mochten die zich voordoen.
- De infusiearts/-verpleegkundige **volgt strikt de voorgeschreven bereidings- en toedieningswijze** van cipaglucozidase alfa in combinatie met miglustat, zoals vermeld in deze handleiding en de voorschrijfinformatie.
- De infusiearts/-verpleegkundige **volgt strikt de voorgeschreven dosis en infusiesnelheid** van cipaglucozidase alfa, zoals vermeld in het infusiedagboek.

- **Een goede planning en bewaking van de infusies** is de verantwoordelijkheid van de behandelend arts en de infusiezorgverlener/-verpleegkundige.
- De infusiearts/-verpleegkundige **noteert elke toediening** van cipaglucosidase alfa in het infusiedagboek.
- De infusiearts/-verpleegkundige is **te allen tijde beschikbaar tijdens de thuisinfusie en gedurende een bepaalde tijd na de infusie**, afhankelijk van hoe goed de patiënt de behandeling verdraagt voordat de thuisinfusie wordt gestart.
- **Een geschikte behandeling van** infusiegerelateerde reacties, **waaronder verlaging van de infusiesnelheid, tijdelijke onderbreking van de infusie, symptomatische behandeling met orale antihistaminica of antipyretica en passende reanimatiemaatregelen** zijn de verantwoordelijkheid van de infusiearts/-verpleegkundige. Raadpleeg paragraaf 6 voor verdere richtlijnen.
- De infusiearts/-verpleegkundige **noteert elke infusie en beschrijft de medische toestand van de patiënt voor en na de infusie, de dosis, de infusiesnelheid, eventuele bijwerkingen/noodgevallen die zich voordoen en de behandeling ervan.**
- Elke **infusiegerelateerde reactie, met inbegrip van overgevoeligheds- en anafylactische reacties** moet in het infusiedagboek worden genoteerd.
- De infusiearts/-verpleegkundige **overlegt met de behandelend arts of de patiënt eventueel naar het ziekenhuis/de kliniek moet terugkeren** voor daaropvolgende infusies.
- **De infusiearts/-verpleegkundige moet, in overleg met de behandelend arts, alle vermoedelijke bijwerkingen en medicatiefouten melden aan Amicus Therapeutics, zoals beschreven in paragraaf 7.**

3.4

Medisch onderzoek van de patiënt vóór toediening van de thuisinfusie

Voordat de infusie met cipaglucosidase alfa wordt toegediend, moet worden vastgesteld of de patiënt in staat is om een infusie te krijgen. De patiënt moet in een goede algemene conditie en welzijn verkeren, afhankelijk van zijn of haar persoonlijke ziektestatus. De aanwezigheid van zowel acute als koortsachtige ziekten moet worden uitgesloten. De patiënt moet worden gevraagd of er in verband met de vorige infusie (d.w.z. nadat de infusiearts/-verpleegkundige het huis van de patiënt had verlaten) bijwerkingen zijn opgetreden. Bloeddruk, hartslag, ademhalingsfrequentie en lichaamstemperatuur moeten aan het begin en ook tijdens de infusie regelmatig worden gecontroleerd, vooral vóór enige verhoging van de infusiesnelheid. In geval van een bijkomende ziekte of nieuw gemelde bijwerkingen in verband met een eerdere infusie, moet met de behandelend arts worden overlegd voordat met de infusie wordt begonnen.

3.5

Voorbehandeling en spoedbehandeling

- **Er kan premedicatie met orale antihistaminica, antipyretica en/of corticosteroiden worden toegediend om tekenen en symptomen in verband met infusiegerelateerde reacties te helpen behandelen. De verstrekte voorbehandeling moet geschikt zijn op basis van het patiëntspecifieke voorschrift.** De behandeling die in het ziekenhuis of een andere medische omgeving is toegediend, mag in de thuisomgeving niet worden gewijzigd, tenzij dit naar het oordeel van de behandelend arts medisch gerechtvaardigd is.
- **Er moeten medicijnen beschikbaar zijn om te kunnen reageren op een noodsituatie,** indien nodig. De behandelend arts moet de thuisinfusiearts/-verpleegkundige goed voorlichten over het gebruik van noodmedicatie.
- **Als de patiënt een infusiegerelateerde reactie ervaart, moeten geschikte maatregelen worden overwogen, met inbegrip van verlaging van de infusiesnelheid, tijdelijke onderbreking van de infusie, symptomatische behandeling met orale antihistaminica of antipyretica en passende reanimatiemaatregelen.** Paragraaf 6 biedt een richtlijn voor de behandeling van infusiegerelateerde reacties; de lijst met symptomen van infusiegerelateerde reacties is echter niet alomvattend en is bedoeld als richtlijn voor infusieartsen/-verpleegkundigen voor de aanvankelijke behandeling van infusiegerelateerde reacties, met inbegrip van anafylaxie. Naar het oordeel van de behandelend arts moeten ofwel de richtlijnen worden gevolgd of het behandelprotocol dat het betreffende centrum gebruikelijk volgt.
- **Indien de patiënt anafylaxie of een ernstige allergische reactie ervaart tijdens of kort na de infusie, moet de infusie onmiddellijk worden stopgezet en moet een geschikte medische behandeling worden gestart.** Als de patiënt de behandeling voortzet, moeten de daaropvolgende infusies in een ziekenhuis of andere medische omgeving plaatsvinden die is uitgerust om met dergelijke medische noodgevallen om te gaan.

3.6

Het infusiedagboek

- Het infusiedagboek dient als **communicatiemiddel voor iedereen die betrokken is** bij het toedienen van cipaglucozidase alfa in combinatie met miglustat in de thuisomgeving.
- De infusiearts/-verpleegkundige **noteert de bevindingen en maatregelen** van de eerste infusie en alle relevante informatie van daaropvolgende infusies in het infusiedagboek.

- In het infusiedagboek moet een lijst met contactpersonen voor noodgevallen worden ingevuld en thuis voor de patiënt en/of verzorger(s) en de infusiearts/-verpleegkundige beschikbaar zijn.
- Het infusiedagboek moet bij de patiënt thuis bewaard worden en wordt telkens wanneer cipaglucozidase alfa wordt toegediend door de infusiearts/-verpleegkundige en/of patiënt/verzorger(s) bijgewerkt.
- De patiënt/verzorger moet het infusiedagboek bij elke afspraak meenemen naar het ziekenhuis/de kliniek en het daarna opnieuw mee naar huis nemen.
- In het infusiedagboek noteert de behandelend arts duidelijk de dosis, het vereiste gereconstitueerde volume, de infusiesnelheid en eventuele wijzigingen.
- De behandelend arts geeft duidelijk aan wat er gedaan moet worden, welke premedicatie moet worden toegediend en welke medicijnen moeten worden toegediend bij een ernstige infusiegerelateerde reactie, in overeenstemming met de huidige medische normen voor spoedbehandeling.
- De contactgegevens van de behandelend arts en het nationale alarmnummer worden ook in het infusiedagboek genoteerd.

4

PROCEDURE VOOR THUISINFUSIE

De behandelend arts is verantwoordelijk voor de organisatie van de thuisinfusie, moet afspraken maken over de thuisinfusieprocedure en ervoor zorgen dat de thuisinfusiearts/-verpleegkundige over de geschikte kwalificaties beschikt.

De thuisinfusiearts/-verpleegkundige voert de gehele procedure voor de infusies bij de patiënt thuis uit. De infusiearts/-verpleegkundige is te allen tijde beschikbaar tijdens de thuisinfusie en gedurende een bepaalde tijd na de infusie, afhankelijk van hoe goed de patiënt de behandeling verdraagt voordat de thuisinfusie wordt gestart.

De bereidings- en toedieningsprocedures in paragraaf 5 van dit document moeten worden opgevolgd en elke toediening van cipaglucozidase alfa moet in het infusiedagboek worden genoteerd (paragraaf 3.6). In geval van problemen met de reconstitutie en toediening van cipaglucozidase alfa, moet de infusiearts/-verpleegkundige in overleg met de behandelend arts de gepaste maatregelen bepalen alvorens de infusie opnieuw te starten of te hervatten.

Als de patiënt meent dat de behandeling niet doeltreffend is, dient hij/zij de behandelend arts te raadplegen.

BEREIDING EN TOEDIENING VAN CIPAGLUCOSIDASE ALFA

De gebruiksaanwijzing met betrekking tot reconstitutie, verdunning en toediening vindt u in de Samenvatting van Productkenmerken (SmPC).

De SmPC is online beschikbaar op <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/Pombiliti>

5.1

Voorschrift

De dosis miglustat, de dosis cipaglucosidase alfa, het vereiste gereconstitueerde volume, de infusiesnelheid, de premedicatie, de noodmedicatie en eventuele veranderingen worden door de behandelend arts bepaald en in het infusiedagboek genoteerd. Eventuele wijzigingen in dit voorschrift moeten in het infusiedagboek worden genoteerd.

Omdat de toegediende dosis cipaglucosidase alfa aan de hand van het gewicht wordt bepaald, is het belangrijk regelmatig het gewicht van de patiënt te controleren om er zeker van te zijn dat de dosis correct is. Als de toediening gedelegeerd wordt, moet de behandelend arts bepalen hoe met de dosering moet worden omgegaan bij gewichtsverandering. Om medicatiefouten te voorkomen is de juiste bepaling van het benodigde infusievolume van groot belang. Dit moet vooraf door de behandelend arts worden bepaald.

5.2

Benodigheden

CHECKLIST BEHANDELDAG



PRODUCTEN

- ☐ **Flacons van 105 mg cipaglucosidase alfa** (20 mg/kg lichaamsgewicht, eenmaal per 2 weken toegediend)
- ☐ **Miglustat-capsules** (voor patiënten ≥ 50 kg, 4 capsules (in totaal 260 mg); voor ≥ 40 kg tot < 50 kg, 3 capsules (in totaal 195 mg))
- ☐ Premedicatie zoals voorgeschreven



INFUSIEBENODIGDHEDEN EN MATERIAAL

- ☐ **Steriel water** voor injectie bij kamertemperatuur van 20 °C tot 25 °C
- ☐ **Natriumchloride 9 mg/ml (0,9%) oplossing** voor injectie bij kamertemperatuur van 20 °C tot 25 °C; kies een zakgrootte op basis van het lichaamsgewicht van de patiënt
- ☐ **Een naald met een diameter van 18 gauge of minder**
- Gebruik tijdens de bereiding geen filternaalden die deeltjes verminderen
- ☐ **Extra benodigheden** volgens het protocol van de instelling

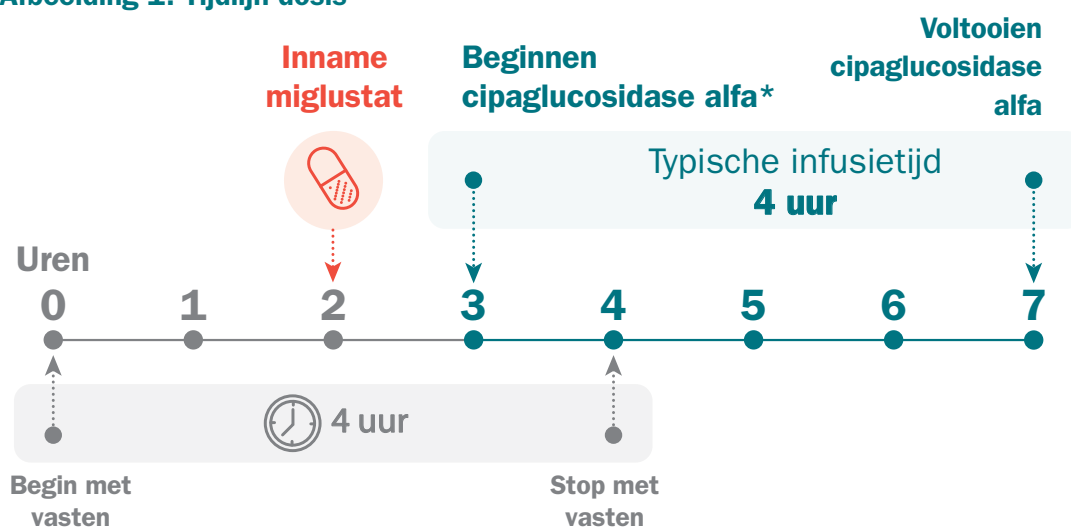
5.3

Tijdslijn tot toediening, met inbegrip van toediening van miglustat Opfolda

Cipaglucosidase alfa mag alleen worden toegediend in combinatie met miglustat. Het gebruik van miglustat met andere GAA-enzymvervangende therapieën is niet onderzocht.

Hoe de infusiedag eruit zou moeten zien:

Abbeelding 1. Tijdslijn dosis



* De cipaglucosidase alfa-infusie moet 1 uur na het innemen van de capsules miglustat beginnen. In geval van vertraging van de infusie mag de start van de infusie niet later dan 3 uur na het innemen van miglustat plaatsvinden.



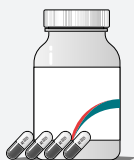
Als de patiënt overstapt van een andere enzymvervangende therapie (ERT), kan de behandeling met cipaglucosidase alfa + miglustat op het volgende geplande toedieningstijdstip (2 weken na de vorige behandeling) worden gestart. Patiënten die zijn overgestapt van een andere ERT naar behandeling met cipaglucosidase alfa + miglustat, moet worden geadviseerd om door te gaan met de premedicatie die bij de vorige behandeling werd gebruikt, om infusiegerelateerde reacties (IAR's) tot een minimum te beperken.



CONTROLEER HET VOLGENDE ZORGVULDIG

- De patiënt heeft de miglustat-capsules ongeveer 1 uur vóór aanvang van de infusie ingenomen
- De patiënt heeft 2 uur vóór en 2 uur na de inname van miglustat niets gegeten of gedronken behalve water.

5.3



MIGLUSTAT INNEMEN

- De capsules moeten op een lege maag worden ingenomen.
- De patiënt mag **2 uur vóór en 2 uur na inname van miglustat niets eten of drinken behalve water, koolzuurhoudend water of thee of koffie zonder melk of suiker.**
- De capsules moeten worden ingenomen ongeveer **1 uur vóór aanvang van de infusie met cipaglucozidase alfa.**
- In geval van vertraging van de infusie mag de start van de infusie niet langer dan 3 uur na orale toediening van miglustat plaatsvinden.
- De capsules moeten worden doorgeslikt met water, vetvrije (magere) koemelk en thee of koffie zonder room, suiker of zoetstoffen. Deze dranken kunnen tijdens de nuchtere periode van 4 uur worden geconsumeerd.
- 2 uur na inname van miglustat kan de patiënt weer normaal eten en drinken.

5.4

De dosering voor zowel cipaglucozidase alfa als miglustat is gebaseerd op het lichaamsgewicht

Als het gewicht van de patiënt sinds de laatste infusie is veranderd of als u niet eerder cipaglucozidase alfa + miglustat aan de patiënt heeft toegediend, moet u de patiënt wegen.

Berekening van de dosis

Cipaglucozidase alfa wordt om de week aan de patiënt toegediend via een intraveneuze infusie, samen met het orale medicijn miglustat.



Dosering op basis van gewicht

Aanbevolen dosering: 20 mg/kg totaal lichaamsgewicht, om de week toegediend als intraveneuze oplossing

Miglustat-capsules van 65 mg worden om de week toegediend in combinatie met de intraveneuze infusie van cipaglucozidase alfa.



Dosering op basis van gewicht

Aanbevolen dosering:

- ≥ 40 kg maar < 50 kg = 3 capsules
- ≥ 50 kg = 4 capsules

	Berekening	Voorbeeld
Dosis	Lichaamsgewicht van de patiënt (kg) x dosis (20 mg/kg)	65 kg x 20 mg/kg = 1300 mg totale dosis
Injectieflacons voor reconstitutie	Dosis van de patiënt (in mg) gedeeld door 105 (mg/ injectieflacon)	1300/105 mg per injectieflacon = 12,38 injectieflacons
Injectieflacons om te bereiden	Rond af naar de dichtstbijzijnde volledige injectieflacon	12,38 injectieflacons → 13 injectieflacons
Bereken het extractievolume	Aantal volledige injectieflacons x 7,0 ml/ flesje extractievolume	12 injectieflacons x 7,0 ml = 84 ml 0,38 injectieflacon x 7,0 ml = 2,7 ml
		84 ml + 2,7 ml = Extractievolume van 86,7 ml

5.5

Reconstitutie voorbereiden

Voordat cipaglucozidase alfa aan de patiënt kan worden toegediend, moet het worden gereconstitueerd. Zodra u weet hoeveel injectieflacons u gaat gebruiken, haalt u ze uit de koelkast en laat u ze ongeveer een half uur staan, zodat ze op kamertemperatuur komen (20 °C tot 25 °C).



BENODIGDHEDEN VOOR RECONSTITUTIE EN VERDUNNING



Flacons van 105 mg cipaglucozidase alfa



Steriel water voor injectie bij kamertemperatuur van 20 °C tot 25 °C



Natriumchloride 9 mg/ ml (0,9%) oplossing voor injectie bij kamertemperatuur van 20 °C tot 25 °C

- Kies een zakgrootte op basis van het lichaamsgewicht van de patiënt



Een naald met een diameter van 18 gauge of minder

- Gebruik tijdens de bereiding geen filternaalden die deeltjes verminderen

INSPECTEER ELKE INJECTIEFLACON ZORGVULDIG



Helder tot opalescent, kleurloos tot lichtgeel en ogenschijnlijk bijna vrij van deeltjes, maar kan witte tot doorschijnende deeltjes bevatten.



Niet gebruiken als er vreemd materiaal wordt waargenomen of als de stof verkleurd is.

5.6

De gelyofiliseerde cake of het poeder reconstitueren



1 Haal de injectieflacons uit de koelkast (2° C tot 8 °C) en laat ze op kamertemperatuur komen (d.w.z. ongeveer 30 minuten bij 20 °C tot 25 °C).



2 Reconstitueer elke flacon door langzaam 7,2 ml steriel water voor injectie druppelsgewijs toe te voegen op de gelyofiliseerde cake of het poeder. Vermijd dat het steriele water voor injectie krachtig met het gelyofiliseerde poeder in aanraking komt en vermijd schuimvorming.



3 Kantel en rol elke injectieflacon voorzichtig om het poeder op te lossen; niet omkeren, ronddraaien of schudden. Reconstitutie van het gelyofiliseerde poeder duurt doorgaans 2 minuten.



4 Inspecteer de gereconstitueerde injectieflacons op deeltjes en verkleuring. Het gereconstitueerde volume ziet eruit als een kleurloze tot lichtgele oplossing, helder tot opalescent, en lijkt bijna vrij van deeltjes, maar kan witte tot doorschijnende deeltjes bevatten.

- Niet gebruiken als bij onmiddellijke inspectie vreemd materiaal wordt waargenomen of als de oplossing verkleurd is.
- Elke gereconstitueerde injectieflacon moet een concentratie van 15 mg/ml opleveren met een extraheerbaar volume van 7,0 ml.

5 Herhaal de bovenstaande stappen voor het aantal injectieflacons dat nodig is voor verdunning.

5.7

De oplossing verdunnen



1
Verwijder de luchtruimte in de infusiezak. Verwijder een gelijk volume natriumchloride 9 mg/ml (0,9%) oplossing voor injectie, dat zal worden vervangen door het totale volume (ml) gereconstitueerd cipaglucosidase alfa.



2
Trek de gereconstitueerde oplossing langzaam uit de injectieflacons totdat de dosis voor de patiënt is verkregen. Vermijd schuimvorming in de spuit. Gooi de resterende gereconstitueerde oplossing in de laatste injectieflacon weg.



3
Injecteer het gereconstitueerde cipaglucosidase alfa langzaam rechtstreeks in de zak met natriumchloride 9 mg/ml (0,9%) oplossing voor injectie. Voeg het niet rechtstreeks toe aan de luchtruimte die mogelijk in de infusiezak achterblijft.



4

- Draai de zak voorzichtig om of masseer hem om de verdunde oplossing te mengen.
- De infusiezak niet schudden of overmatig bewegen
- Gebruik geen pneumatische buis om de infusiezak te transporteren

Cipaglucosidase alfa moet worden toegediend zoals vermeld in de Samenvatting van Productkenmerken



- Er moet een intraveneuze toedieningsset worden gebruikt met een inline filter van 0,2 micron met lage eiwitbinding. Als de intraveneuze lijn tijdens de infusie verstopt raakt, moet u de filter vervangen.
- Als onmiddellijk gebruik niet mogelijk is, kan de gereconstitueerde oplossing maximaal 30 uur in de koelkast bij 2°-8° C worden bewaard.

Het infuus toedienen



Nu bent u klaar om met de infusie te beginnen

De infusie neemt ongeveer 4 uur in beslag.



1. De infusieoplossing moet bij kamertemperatuur worden toegediend.
2. Het totale volume van de infusie wordt bepaald op basis van het lichaamsgewicht en wordt doorgaans gedurende ongeveer 4 uur toegediend.
3. De infusie van cipaglucoosidase alfa moet ongeveer **1 uur na orale toediening van miglustat** beginnen.
4. In geval van vertraging van de infusie mag de **start van de infusie niet langer dan 3 uur na orale toediening van miglustat plaatsvinden**.
5. De aanvankelijke infusiesnelheid mag niet hoger zijn dan 1 mg per kg per uur gedurende 30 minuten.
6. Nadat is vastgesteld dat de patiënt de infusiesnelheid verdraagt, kan de infusiesnelheid elke 30 minuten met 2 mg per kg per uur worden verhoogd, tot een maximale snelheid van 7 mg per kg per uur.
7. Aan het einde van elke stap moeten de vitale functies worden gemeten.

Aanbevolen infusievolumes en -snelheden

Gewichtsbereik van de patiënt (kg)	Totaal infusievolume (ml)	Stap 1 1 mg/kg/uur (ml/uur)	Stap 2 1 mg/kg/uur (ml/uur)	Stap 3 1 mg/kg/uur (ml/uur)	Stap 4 1 mg/kg/uur (ml/uur)
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

De infusiesnelheid kan worden vertraagd of de infusie kan tijdelijk worden stopgezet in geval van milde tot matige infusiegerelateerde reacties. Indien een ernstige allergische reactie of anafylaxie optreedt, moet de infusie onmiddellijk worden stopgezet en een passende medische behandeling worden gestart.

INFUSIEGERELATEERDE REACTIES EN OVERGEVOELIGHEIDSREACTIES HERKENNEN EN BEHANDELEN

Het kan nuttig zijn om de termen te begrijpen die worden gebruikt om de intensiteit (zwaarte) en de ernst van een bijwerking te definiëren.

Een milde bijwerking is in het algemeen een bijwerking die gemakkelijk door de patiënt wordt verdragen, die minimaal ongemak veroorzaakt en die de dagelijkse activiteiten niet hindert. Een matige bijwerking is een bijwerking die voldoende ongemak veroorzaakt om de normale dagelijkse activiteiten te verstoren. Een ernstige bijwerking is een bijwerking die de normale dagelijkse activiteiten belet. De term 'ernstig' (intens) mag niet worden verward met 'ernst'. 'Ernstig' wordt gebruikt om de intensiteit (zwaarte) van een specifiek voorval te beschrijven (mild, matig of ernstig); het voorval zelf kan echter van relatief weinig medisch belang zijn (zoals ernstige hoofdpijn).

Ernst in de zin van de impact (niet de intensiteit) is gebaseerd op de uitkomst voor de patiënt, hoe op een voorval wordt gereageerd (bijv. een ziekenhuisopname) en wordt gebruikt om wettelijke rapportageverplichtingen te definiëren. Een ernstige bijwerking in deze zin van het woord is een bijwerking die de dood tot gevolg heeft, levensbedreigend is, een ziekenhuisopname vereist of tot verlenging van een bestaande ziekenhuisopname leidt, aanhoudende of aanzienlijke invaliditeit of arbeidsongeschiktheid tot gevolg heeft of uit een aangeboren afwijking/geboortefwijking bestaat.

Met levensbedreigend wordt in deze context een bijwerking bedoeld, waarbij de patiënt kans liep op overlijden ten tijde van de reactie; hiermee wordt geen reactie bedoeld die hypothetisch het overlijden zou hebben kunnen veroorzaken als de reactie ernstiger was geweest.

Om te beslissen of andere situaties als ernstig moeten worden beschouwd, zoals belangrijke medische voorvallen die misschien niet onmiddellijk levensbedreigend zijn of overlijden of een ziekenhuisopname tot gevolg hebben, maar die de patiënt in gevaar kunnen brengen of interventie vereisen om een van de andere uitkomsten in de bovenstaande definitie te voorkomen, is medisch en wetenschappelijk beoordelingsvermogen vereist.

Het is bekend dat infusiegerelateerde reacties en overgevoeligheidsreacties tijdens of tot enkele uren na de infusie met cipaglucosidase alfa en andere enzymvervangende therapieën (ERT's) kunnen optreden. De meeste infusiegerelateerde reacties die bij

cipaglucoosidase alfa zijn gemeld, waren mild of matig van ernst en van voorbijgaande aard, en omvatten opgezette buik, koude rillingen, duizeligheid, dysgeusie, dyspneu, blozen, pruritus, koorts en uitslag.

Ernstige infusiegerelateerde reacties, zoals anafylaxie, zijn ook gemeld bij patiënten die werden behandeld met cipaglucoosidase alfa. Symptomen van ernstige infusiegerelateerde reacties kunnen bestaan uit: angio-oedeem, bronchospasme, pijn op de borst, koude rillingen, dyspneu, gegeneraliseerde netelroos, hypotensie (zich zwak voelen, bleekheid), larynxoedeem, syncope en tachycardie.

Om infusiegerelateerde reacties te behandelen, moeten verlaging van de infusiesnelheid, tijdelijke onderbreking van de infusie, behandeling van de symptomen met orale antihistaminica of antipyretica en passende reanimatiemaatregelen worden overwogen. In het geval van een ernstige infusiegerelateerde reactie moet de infusiearts/-verpleegkundige de infusie onmiddellijk onderbreken en een geschikte medische behandeling starten. De huidige medische normen voor spoedbehandeling van anafylactische reacties moeten in acht worden genomen en apparatuur voor cardiopulmonale reanimatie moet onmiddellijk beschikbaar zijn.

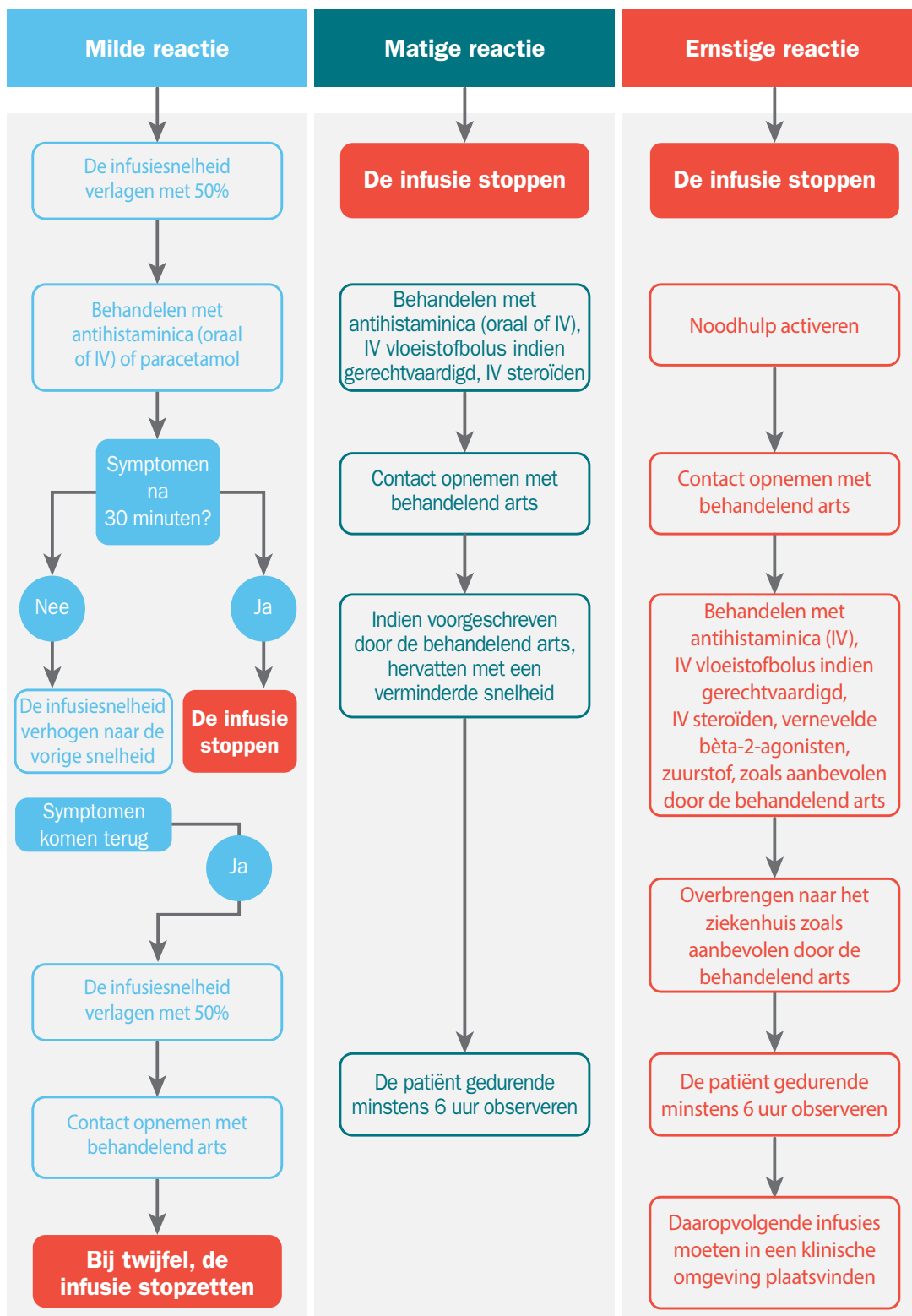
De risico's en voordelen van het opnieuw toedienen van cipaglucoosidase alfa na anafylaxie of ernstige infusiereacties moeten zorgvuldig worden afgewogen, en als de patiënt de behandeling voortzet, moet de daaropvolgende infusie in een klinische omgeving plaatsvinden die is uitgerust om met dergelijke medische noodgevallen om te gaan.



Het stroomschema op de volgende pagina geeft aanbevelingen over hoe moet worden gehandeld in geval van een infusiegerelateerde reactie.

De behandelingsaanbevelingen die in het stroomschema worden gegeven, zijn slechts een suggestie. Volgens het noodplan neemt de behandelend arts de uiteindelijke beslissing over de behandeling. Zorg ervoor dat u onmiddellijk gereed bent voor reanimatie voordat u met de infusie begint.

Noteer in het infusedagboek alle informatie met betrekking tot tijdstippen, bijwerkingen, medicatie en infusiesnelheden.



Raadpleeg ook de huidige Samenvatting van Productkenmerken (SmPC) voor meer informatie over de veiligheid van cipaglucosidase alfa; deze is te vinden op

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

VEILIGHEIDSRAPPORTAGE EN OVERIGE INFORMATIE

Meld bijwerkingen bij het Nederlands Bijwerkingencentrum Lareb

▼ Dit geneesmiddel is onderworpen aan aanvullende monitoring. Daardoor kan snel nieuwe veiligheidsinformatie worden vastgesteld.

Het is belangrijk om na toelating van het geneesmiddel vermoedelijke bijwerkingen te melden. Op deze wijze kan de verhouding tussen voordelen en risico's van het geneesmiddel voortdurend worden gevolgd. Beroepsbeoefenaren in de gezondheidszorg wordt verzocht alle vermoedelijke bijwerkingen te melden via het Nederlands Bijwerkingencentrum Lareb; website www.lareb.nl.

Bijwerkingen geassocieerd met het gebruik van CIPAGLUCOSIDASE ALFA kunnen ook worden gemeld aan de dienst voor Geneesmiddelenbewaking van Amicus Therapeutics via telefoonnummer (+31) 20 235 8510 / (+31) 0800 022 8399 of per e-mail naar drugsafety@amicusrx.com.

De SmPC en bijsluiter voor cipaglucozidase alfa en miglustat zijn beschikbaar op de EMA-website

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

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

Aanvullende informatie betreffende cipaglucozidase alfa is beschikbaar in de Samenvatting van productkenmerken (SmPC) en bijsluiter op www.geneesmiddeleninformatiebank.nl.

U kunt extra materiaal opvragen bij van Amicus Therapeutics, te bereiken via telefoonnummer (+31) 20 235 8510 / (+31) 0800 022 8399, of via MedInfo@amicusrx.com.

Het materiaal is online beschikbaar op <https://amicusrx.nl/rmm>.

Amicus Therapeutics Europe Limited Block 1,
Blanchardstown Corporate Park Ballycoolin Road Blanchardstown,
Dublin D15 AKK1 Ireland
e-mail: info@amicusrx.co.uk