

## **Gebrauchsinformation: Information für Anwender**

### **Mepsevii 2 mg/ml Konzentrat zur Herstellung einer Infusionslösung** Vestronidase alfa

▼ Dieses Arzneimittel unterliegt einer zusätzlichen Überwachung. Dies ermöglicht eine schnelle Identifizierung neuer Erkenntnisse über die Sicherheit. Sie können dabei helfen, indem Sie jede auftretende Nebenwirkung melden. Hinweise zur Meldung von Nebenwirkungen, siehe Ende Abschnitt 4.

**Lesen Sie die gesamte Packungsbeilage sorgfältig durch, bevor Sie mit der Anwendung dieses Arzneimittels beginnen, denn sie enthält wichtige Informationen.**

- Heben Sie die Packungsbeilage auf. Vielleicht möchten Sie diese später nochmals lesen.
- Wenn Sie weitere Fragen haben, wenden Sie sich an Ihren Arzt.
- Dieses Arzneimittel wurde Ihnen persönlich verschrieben. Geben Sie es nicht an Dritte weiter. Es kann anderen Menschen schaden, auch wenn diese die gleichen Beschwerden haben wie Sie.
- Wenn Sie Nebenwirkungen bemerken, wenden Sie sich an Ihren Arzt. Dies gilt auch für Nebenwirkungen, die nicht in dieser Packungsbeilage angegeben sind (siehe Abschnitt 4).

#### **Was in dieser Packungsbeilage steht**

1. Was ist Mepsevii und wofür wird es angewendet?
2. Was sollten Sie wissen, bevor Mepsevii bei Ihnen angewendet wird?
3. Wie ist Mepsevii anzuwenden?
4. Welche Nebenwirkungen sind möglich?
5. Wie ist Mepsevii aufzubewahren?
6. Inhalt der Packung und weitere Informationen

#### **1. Was ist Mepsevii und wofür wird es angewendet?**

##### **Was ist Mepsevii**

Mepsevii enthält ein Enzym mit der Bezeichnung Vestronidase alfa, das zu der Arzneimittelklasse der so genannten „Enzymersatztherapien“ gehört. Es wird bei Erwachsenen und Kindern jeglichen Alters mit MPS VII (Mukopolysaccharidose VII bzw. Sly-Syndrom) zur Behandlung von nicht-neurologischen Anzeichen der Krankheit angewendet.

##### **Was ist MPS VII**

MPS VII ist eine familiär auftretende Krankheit, bei welcher der Körper zu wenig von einem Enzym mit der Bezeichnung Beta-Glukuronidase herstellt.

- Dieses Enzym hilft beim Abbau von bestimmten Zuckern im Körper, die als Mukopolysaccharide bezeichnet werden.
- Mukopolysaccharide werden im Körper gebildet und helfen beim Aufbau von Knochen, Knorpel, Haut und Sehnen.
- Diese Zucker werden ständig recycelt – das heißt, es werden neue Zucker hergestellt und alte abgebaut.
- Wenn nicht genügend Beta-Glukuronidase vorhanden ist, sammeln sich Teile dieser Zucker in Zellen an und verursachen Schädigungen im Körper.

##### **Wie Mepsevii wirkt**

Dieses Arzneimittel ersetzt Beta-Glukuronidase – dies trägt dazu bei, die Zucker, die sich bei Menschen mit MPS VII in Geweben eingelagert haben, abzubauen.

- Die Behandlung kann zu einer Verbesserung verschiedener Anzeichen und Symptome der Krankheit, zum Beispiel von Gehschwierigkeiten und der Müdigkeit, führen.

Indem bei Kindern frühzeitig mit der Behandlung begonnen wird, kann verhindert werden, dass sich die Krankheit verschlimmert, und dauerhafte Schädigungen können reduziert werden.

## **2. Was sollten Sie wissen, bevor Mepsevii bei Ihnen angewendet wird?**

### **Mepsevii darf nicht bei Ihnen angewendet werden,**

- wenn Sie jemals eine starke allergische Reaktion gegen Vestronidase alfa oder einen der in Abschnitt 6 genannten sonstigen Bestandteile dieses Arzneimittels hatten.

### **Warnhinweise und Vorsichtsmaßnahmen**

Bitte sprechen Sie mit Ihrem Arzt, bevor Mepsevii bei Ihnen angewendet wird.

Die Auswirkungen der Behandlung mit Vestronidase alfa sollten regelmäßig beurteilt werden, und in Fällen, in denen kein eindeutiger Nutzen (einschließlich einer Stabilisierung der Krankheitsanzeichen) festzustellen ist, sollte erwogen werden, die Behandlung abzusetzen. Das Absetzen der Behandlung kann zu einer signifikanten Verschlechterung des klinischen Status des Patienten führen.

Es ist zu bedenken, dass die Gabe von Vestronidase alfa keine Auswirkungen auf die irreversiblen Komplikationen (z. B. Skelettdeformationen) hat.

### **Achten Sie auf Nebenwirkungen**

- Während der Gabe von Mepsevii oder bis zu einem Tag lang danach können bei Ihnen Nebenwirkungen auftreten. Diese Nebenwirkungen werden als Infusionsreaktionen bezeichnet, weil sie durch die Infusion (den Tropf) des Arzneimittels verursacht werden. Sie können eine allergische Reaktion einschließen (siehe Abschnitt 4). Wenn bei Ihnen eine Infusionsreaktion auftritt, **verständigen Sie unverzüglich Ihren Arzt**.
- Wenn Sie während Ihrer Infusion eine allergische Reaktion entwickeln, kann Ihr Arzt Ihre Infusion langsamer stellen oder ganz beenden. Ihr Arzt kann Ihnen andere Arzneimittel gegen die allergische Reaktion geben, zum Beispiel ein Antihistaminikum oder ein Kortikosteroid oder ein Antipyretikum, d. h. ein Arzneimittel gegen Fieber, oder Sie haben bereits solche Arzneimittel erhalten.

### **Sonstige Symptome, die auftreten könnten**

- Wenn Sie Schmerzen im Nackenbereich oder Rücken oder ein Taubheitsgefühl in den Armen oder Beinen entwickeln oder die Harn- oder Stuhlausscheidung nicht mehr kontrollieren können, **verständigen Sie unverzüglich Ihren Arzt**. Diese Probleme können Anzeichen der Krankheit sein und werden möglicherweise durch einen Druck auf Ihr Rückenmark verursacht.

### **Anwendung von Mepsevii zusammen mit anderen Arzneimitteln**

Informieren Sie Ihren Arzt, wenn Sie andere Arzneimittel anwenden, kürzlich andere Arzneimittel angewendet haben oder beabsichtigen, andere Arzneimittel anzuwenden.

### **Schwangerschaft und Stillzeit**

Wenn Sie schwanger sind oder stillen, oder wenn Sie vermuten, schwanger zu sein oder beabsichtigen, schwanger zu werden, fragen Sie vor der Anwendung dieses Arzneimittels Ihren Arzt um Rat.

Sie werden nicht mit Mepsevii behandelt werden, wenn Sie schwanger sind, es sei denn, die Behandlung ist eindeutig notwendig. Besprechen Sie mit Ihrem Arzt, ob der Nutzen der Anwendung von Mepsevii die möglichen Risiken für Ihr ungeborenes Kind überwiegt, da keine Erfahrungen mit der Anwendung von Mepsevii während einer Schwangerschaft vorliegen.

Es ist nicht bekannt, ob Mepsevii in die Muttermilch übergeht, es wird aber nicht erwartet, dass das Arzneimittel an Ihr Baby weitergegeben wird. Besprechen Sie mit Ihrem Arzt, ob der Nutzen der Anwendung von Mepsevii das mögliche Risiko für Ihr Baby beim Stillen überwiegt.

### **Verkehrstüchtigkeit und Fähigkeit zum Bedienen von Maschinen**

Mepsevii hat voraussichtlich keinen Einfluss auf Ihre Verkehrstüchtigkeit und Ihre Fähigkeit zum Bedienen von Maschinen.

### **Mepsevii enthält Natrium**

Dieses Arzneimittel enthält 17,8 mg Natrium (Hauptbestandteil von Koch-/Speisesalz) pro 5-ml-Durchstechflasche und wird mit 9 mg/ml Natriumchlorid als Verdünnungsmittel gegeben. Jede

verabreichte Durchstechflasche entspricht daher 1,8 % der empfohlenen Tageshöchstdosis für Erwachsene an Natrium aus der Nahrung. Dies ist zu berücksichtigen, falls Sie auf die Menge an Natrium in Ihrer Ernährung achten müssen.

### **3. Wie ist Mepsevii anzuwenden?**

Die Behandlung mit Mepsevii sollte von Ihrem Arzt eingeleitet und überwacht werden.

- Sie erhalten Mepsevii von Ihrem Arzt oder dem medizinischen Fachpersonal durch eine Infusion (einen Tropf) in eine Vene.
- Das Arzneimittel muss vor der Infusion verdünnt werden.
- Ihr Arzt kann Ihnen Arzneimittel gegen die allergische Reaktion geben, zum Beispiel ein Antihistaminikum oder ein Kortikosteroid oder ein Antipyretikum, d. h. ein Arzneimittel gegen Fieber, oder Sie haben bereits solche Arzneimittel erhalten.

#### **Dosis**

Die Dosis, die Sie erhalten werden, richtet sich nach Ihrem Körpergewicht.

- Die empfohlene Dosis beträgt 4 mg pro kg Körpergewicht.
- Die Dosis wird einmal alle zwei Wochen durch einen Venentropf (intravenöse Infusion) gegeben.
- Jede Infusion wird ungefähr 4 Stunden dauern.

#### **Wenn Sie eine größere Menge von Mepsevii erhalten haben, als Sie sollten**

Die Gabe von Mepsevii wird von Ihrem Arzt durchgeführt und überwacht. Er/Sie wird überprüfen, ob Sie die korrekte Dosis erhalten haben, und entsprechende Maßnahmen treffen.

Wenn Sie weitere Fragen zur Anwendung dieses Arzneimittels haben, wenden Sie sich an Ihren Arzt.

### **4. Welche Nebenwirkungen sind möglich?**

Wie alle Arzneimittel kann auch dieses Arzneimittel Nebenwirkungen haben, die aber nicht bei jedem auftreten müssen.

Nebenwirkungen traten hauptsächlich während oder innerhalb eines Tages nach der Infusion des Arzneimittels auf („Infusionsreaktionen“).

**Verständigen Sie unverzüglich Ihren Arzt**, falls Sie eine der folgenden Nebenwirkungen bemerken – möglicherweise benötigen Sie dringend eine medizinische Behandlung:

**Sehr häufige** Nebenwirkungen (kann mehr als 1 von 10 Behandelten betreffen):

- Schwere allergische Reaktion (anaphylaktoide Reaktion) – Zu den Symptomen einer schweren allergischen Reaktion zählen Kurzatmigkeit, Giemen, Atembeschwerden und Schwellung von Gesicht und Zunge. Ihr Arzt kann Ihnen andere Arzneimittel gegen die allergische Reaktion geben, zum Beispiel ein Antihistaminikum oder ein Kortikosteroid oder ein Antipyretikum, d. h. ein Arzneimittel gegen Fieber, oder Sie haben bereits solche Arzneimittel erhalten.
- Nesselsucht (Urtikaria)
- Hautausschlag
- Schwellung an der Infusionsstelle, einschließlich Austritten in das Gewebe um die Vene (Schwellung an der Infusionsstelle oder Extravasation an der Infusionsstelle)

**Häufige** Nebenwirkungen (kann bis 1 von 10 Behandelten betreffen):

- Juckreiz der Haut (Pruritus)
- ungeformter Stuhl (Durchfall)
- Fieber mit unkontrollierten Kontraktionen der Muskeln in Gesicht oder Gliedmaßen (Fieberkrampf)

### **Meldung von Nebenwirkungen**

Wenn Sie Nebenwirkungen bemerken, wenden Sie sich an Ihren Arzt. Dies gilt auch für Nebenwirkungen, die nicht in dieser Packungsbeilage angegeben sind. Sie können Nebenwirkungen auch direkt über das in Anhang V aufgeführte nationale Meldesystem anzeigen. Indem Sie Nebenwirkungen melden, können Sie dazu beitragen, dass mehr Informationen über die Sicherheit dieses Arzneimittels zur Verfügung gestellt werden.

### **5. Wie ist Mepsevii aufzubewahren?**

Bewahren Sie dieses Arzneimittel für Kinder unzugänglich auf.

Sie dürfen dieses Arzneimittel nach dem auf dem Umkarton nach „verwendbar bis“ angegebenen Verfalldatum nicht mehr verwenden. Das Verfalldatum bezieht sich auf den letzten Tag des angegebenen Monats.

#### **Ungeöffnete Durchstechflaschen:**

- Im Kühlschrank lagern (2 °C bis 8 °C).
- Nicht einfrieren.
- In der Originalverpackung aufbewahren, um den Inhalt vor Licht zu schützen.
- Sie dürfen dieses Arzneimittel nicht verwenden, wenn Sie Folgendes bemerken: Feststoffe.

Entsorgen Sie Arzneimittel nicht im Abwasser oder Haushaltsabfall. Fragen Sie Ihren Apotheker, wie das Arzneimittel zu entsorgen ist, wenn Sie es nicht mehr verwenden. Sie tragen damit zum Schutz der Umwelt bei.

### **6. Inhalt der Packung und weitere Informationen**

#### **Was Mepsevii enthält**

- Der Wirkstoff ist Vestronidase alfa. Jeder ml Konzentrat enthält 2 mg Vestronidase alfa. Jede Durchstechflasche mit 5 ml Konzentrat enthält 10 mg Vestronidase alfa.
- Die sonstigen Bestandteile sind: Natriumdihydrogenphosphat-Dihydrat, Natriumchlorid, Histidin, Polysorbat 20 und Wasser für Injektionszwecke (bzgl. Natrium, siehe Abschnitt 2 unter „Mepsevii enthält Natrium“).

#### **Wie Mepsevii aussieht und Inhalt der Packung**

Mepsevii liegt als Konzentrat zur Herstellung einer Infusionslösung vor (steriles Konzentrat). Das farblose bis leicht gelbe Konzentrat muss frei von sichtbaren Feststoffen sein. Es liegt in einer durchsichtigen Durchstechflasche aus Glas mit einem Gummistopfen und einem Aluminiumverschluss mit Kunststoffschnapdeckel vor.

Packungsgröße: 1 Durchstechflasche mit 5 ml

#### **Pharmazeutischer Unternehmer**

Ultragenyx Germany GmbH  
Rahel-Hirsch-Str. 10  
10557 Berlin  
Deutschland

#### **Hersteller**

Ultragenyx Netherlands B. V.  
Evert van de Beekstraat 1, Unit 104  
1118 CL Schiphol  
Niederlande

Millmount Healthcare Ltd.  
Block-7, City North Business Campus  
Stamullen, Co. Meath,  
Irland

Falls Sie weitere Informationen über das Arzneimittel wünschen, setzen Sie sich bitte mit dem örtlichen Vertreter des pharmazeutischen Unternehmers in Verbindung:

**BE, BG, CZ, DK, DE, EE, IE, EL, ES, HR, IT, CY, LV, LT, LU, HU, MT, NL, AT, PL, PT, RO, SI, SK, FI, SE, XI**

Ultragenyx Germany GmbH, DE  
Tel/Tél/Teл./Tlf/Tηλ/Puh/Sími: + 49 30 20179810

**FR**

Ultragenyx France SAS, FR  
Tél: + 33 185 653761 ou 0800 91 79 24 (numéro vert)

**Diese Packungsbeilage wurde zuletzt überarbeitet im MM.JJJJ.**

Dieses Arzneimittel wurde unter „Außergewöhnlichen Umständen“ zugelassen. Das bedeutet, dass es aufgrund der Seltenheit dieser Erkrankung nicht möglich war, vollständige Informationen zu diesem Arzneimittel zu erhalten.

Die Europäische Arzneimittel-Agentur wird alle neuen Informationen zu diesem Arzneimittel, die verfügbar werden, jährlich bewerten, und falls erforderlich, wird die Packungsbeilage aktualisiert werden.

**Weitere Informationsquellen**

Ausführliche Informationen zu diesem Arzneimittel sind auf den Internetseiten der Europäischen Arzneimittel-Agentur <http://www.ema.europa.eu> verfügbar. Sie finden dort auch Links zu anderen Internetseiten über seltene Erkrankungen und Behandlungen.

---