

Bijsluiter: informatie voor de patiënt

Pombiliti 105 mg poeder voor concentraat voor oplossing voor infusie cipaglucosidase alfa

▼ Dit geneesmiddel is onderworpen aan aanvullende monitoring. Daardoor kan snel nieuwe veiligheidsinformatie worden vastgesteld. U kunt hieraan bijdragen door melding te maken van alle bijwerkingen die u eventueel zou ervaren. Aan het einde van rubriek 4 leest u hoe u dat kunt doen.

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

- Bewaar deze bijsluiter. Misschien heeft u hem later weer nodig.
- Heeft u nog vragen? Neem dan contact op met uw arts, apotheker of verpleegkundige.
- Krijgt u last van een van de bijwerkingen die in rubriek 4 staan? Of krijgt u een bijwerking die niet in deze bijsluiter staat? Neem dan contact op met uw arts, apotheker of verpleegkundige.

Inhoud van deze bijsluiter

1. Wat is Pombiliti en waarvoor wordt dit middel gebruikt?
2. Wanneer mag u dit middel niet gebruiken of moet u er extra voorzichtig mee zijn?
3. Hoe gebruikt u dit middel?
4. Mogelijke bijwerkingen
5. Hoe bewaart u dit middel?
6. Inhoud van de verpakking en overige informatie

1. Wat is Pombiliti en waarvoor wordt dit middel gebruikt?

Wat is Pombiliti?

Pombiliti is een soort ‘enzymvervangende behandeling’ (enzymsubstitutie therapie) die wordt gebruikt bij de behandeling van volwassenen met de ziekte van Pompe bij wie de eerste ziekteverschijnselen op volwassen leeftijd optraden. Het bevat de werkzame stof ‘cipaglucosidase alfa’.

Waarvoor wordt dit middel gebruikt?

Pombiliti wordt altijd gebruikt met een ander geneesmiddel met de naam miglustat 65 mg harde capsules. Het is heel belangrijk dat u ook de bijsluiter van miglustat 65 mg harde capsules leest.

Als u vragen heeft over uw geneesmiddelen, neem dan contact op met uw arts of apotheker.

Hoe werkt Pombiliti?

Mensen met de ziekte van Pompe hebben een laag gehalte van het enzym zure alfa-glucosidase (GAA). Dit enzym helpt de niveaus van glycogeen (een soort koolhydraat) in het lichaam onder controle te houden.

Bij de ziekte van Pompe hoopt glycogeen zich op in de spieren van het lichaam (glycogeenstapeling). Dit zorgt dat spieren, zoals de spieren die u helpen bij het lopen, de spieren onder de longen die u helpen ademen, en de hartspier, niet goed werken.

Pombiliti komt in de spiercellen die zijn getroffen door de ziekte van Pompe. Wanneer het in de cellen is, werkt het geneesmiddel zoals het enzym GAA om glycogeen te helpen afbreken en het niveau ervan onder controle te houden.

2. Wanneer mag u dit middel niet gebruiken of moet u er extra voorzichtig mee zijn?

Wanneer mag u dit middel niet gebruiken?

- Als u ooit levensbedreigende overgevoeligheidsreacties heeft gehad op:
 - cipaglucosidase alfa

- miglustat
- een van de stoffen in dit geneesmiddel. Deze stoffen kunt u vinden in rubriek 6.
- Als een vorige infusie moest worden gestopt en niet opnieuw kon worden gestart als gevolg van levensbedreigende overgevoeligheidsreacties.

Wanneer moet u extra voorzichtig zijn met dit middel?

Neem contact op met uw arts, apotheker of verpleegkundige voordat u dit middel gebruikt.

Neem onmiddellijk contact op met uw arts of verpleegkundige als de volgende reacties op u van toepassing zijn, als u denkt dat ze op u van toepassing zouden kunnen zijn, of als u ooit dergelijke reacties heeft gehad met een andere enzymvervangende behandeling:

- Allergische reacties, waaronder anafylaxie (een ernstige allergische reactie) - zie rubriek 4 onder 'Mogelijke bijwerkingen' hieronder voor de symptomen van levensbedreigende reacties.
- Infusiegerelateerde reactie terwijl u het geneesmiddel krijgt of in de paar uren daarna - zie rubriek 4 onder 'Mogelijke bijwerkingen' hieronder voor symptomen van levensbedreigende reacties.

Vertel het uw arts als u een voorgeschiedenis van hartziekte of longziekte heeft. Deze aandoeningen kunnen erger worden tijdens of onmiddellijk na uw infusie met Pombiliti. Vertel het onmiddellijk aan een arts of verpleegkundige als u kortademigheid, hoesten, snelle of onregelmatige hartslag of eender welke andere effecten ervaart door deze aandoeningen.

Vertel het ook aan uw arts als u zwelling van uw benen heeft, of een wijdverspreide zwelling in uw gehele lichaam, ernstige huiduitslag of schuimende urine bij het plassen. Uw arts zal beslissen of uw infusie met Pombiliti moet stoppen, en de arts zal u een passende medische behandeling bieden. Uw arts zal ook beslissen of u Pombiliti kunt blijven krijgen.

Geneesmiddelen voor voorbehandeling

Uw arts kan u andere geneesmiddelen geven voordat u Pombiliti krijgt. Deze geneesmiddelen zijn onder andere:

- antihistamines en corticosteroïden om infusiegerelateerde reacties te voorkomen of te verminderen.
- antipyretica voor het verminderen van koorts.

Kinderen en jongeren tot 18 jaar

Dit geneesmiddel mag niet worden gegeven aan patiënten jonger dan 18 jaar. Dit is omdat de effecten van Pombiliti in combinatie met miglustat in deze leeftijdsgroep niet bekend zijn.

Andere geneesmiddelen en Pombiliti

Gebruikt u naast Pombiliti nog andere geneesmiddelen, heeft u dat kort geleden gedaan of bestaat de mogelijkheid dat u in de nabije toekomst andere geneesmiddelen gaat gebruiken? Vertel dat dan uw arts of verpleegkundige. Dit geldt ook voor geneesmiddelen die zonder recept verkrijgbaar zijn, zoals kruidenmiddelen.

Zwangerschap en borstvoeding

Bent u zwanger, denkt u zwanger te zijn, wilt u zwanger worden of geeft u borstvoeding? Neem dan contact op met uw arts of apotheker voordat u dit geneesmiddel gebruikt.

Er is geen ervaring met het gebruik van Pombiliti in combinatie met miglustat tijdens de zwangerschap.

- U mag Pombiliti niet toegediend krijgen en miglustat 65 mg harde capsules niet innemen als u zwanger bent. Vertel het uw arts onmiddellijk als u zwanger bent, denkt dat u zwanger bent, of van plan bent om zwanger te worden. Er kunnen namelijk risico's zijn voor de ongeboren baby.
- Pombiliti in combinatie met miglustat mag niet worden gegeven aan vrouwen die borstvoeding geven. Er moet worden besloten om de behandeling te stoppen of om te stoppen met borstvoeding.

Anticonceptie en vruchtbaarheid

Vrouwelijke patiënten die zwanger kunnen worden, moeten betrouwbare anticonceptiemethoden gebruiken tijdens de behandeling en gedurende 4 weken na het stoppen van beide geneesmiddelen.

Rijvaardigheid en het gebruik van machines

U kunt zich duizelig of slaperig voelen, of een lage bloeddruk (hypotensie) ervaren na de toediening van Pombiliti of na het gebruik van voorbehandelingsgeneesmiddelen. Als dit gebeurt, mag u niet autorijden en geen gereedschap of machines bedienen.

Pombiliti bevat natrium

Dit geneesmiddel bevat 10,5 mg natrium (een belangrijk bestanddeel van keukenzout/tafelzout) in elke flacon. Dit komt overeen met 0,52% van de aanbevolen maximale dagelijkse inname van natrium voor een volwassene.

3. Hoe gebruikt u dit middel?

Pombiliti wordt bij u toegediend door een arts of verpleegkundige. Het middel wordt toegediend via een druppelinfuus in een ader. Dit wordt een intraveneuze infusie genoemd.

Besprek het met uw arts als u thuis wilt worden behandeld. Uw arts zal na beoordeling beslissen of het veilig voor u is om thuis een infusie met Pombiliti te krijgen. Krijgt u last van bijwerkingen tijdens een infusie van Pombiliti? In dat geval kan de zorgverlener voor uw thuisinfusie de infusie stopzetten en beginnen met de gepaste medische behandeling.

Pombiliti moet worden gebruikt in combinatie met miglustat. U mag alleen miglustat 65 mg capsules gebruiken in combinatie met cipaglucozidase alfa. Gebruik **GEEN** miglustat 100 mg capsules (ander product). Volg de instructies van de arts en lees de bijsluiter van miglustat 65 mg harde capsules voor de aanbevolen dosis ervan.

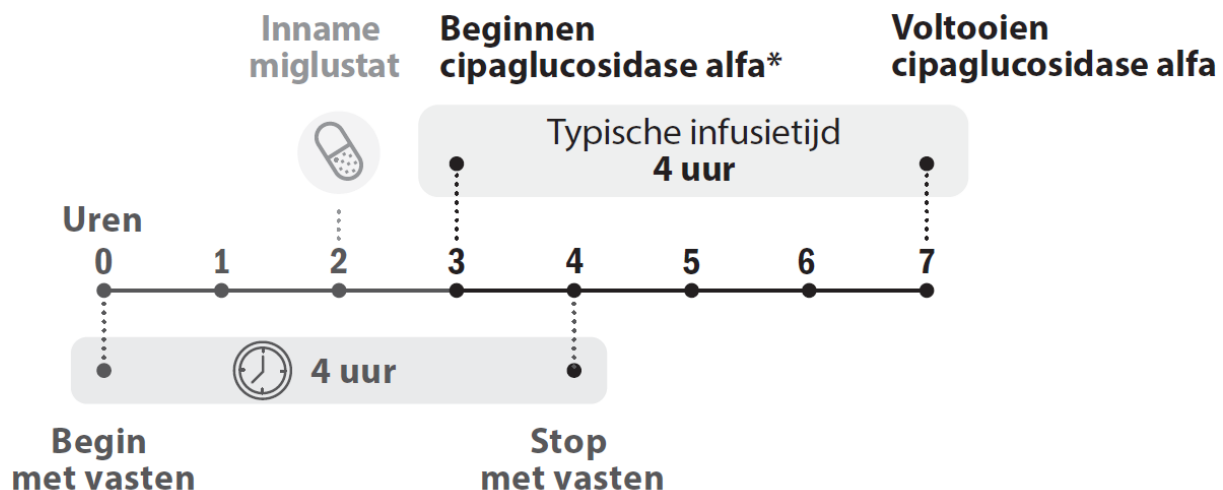
Hoeveel Pombiliti krijgt u toegediend?

De hoeveelheid geneesmiddel die u krijgt, is gebaseerd op uw gewicht. De aanbevolen startdosering is 20 mg voor elke kilogram lichaamsgewicht.

Wanneer en hoelang wordt Pombiliti toegediend?

- U wordt om de andere week behandeld met Pombiliti. Miglustat 65 mg capsules worden op dezelfde dag als Pombiliti ingenomen. Lees de bijsluiter van miglustat 65 mg harde capsules voor informatie over hoe u miglustat moet innemen.
- De cipaglucozidase alfa-infusie moet 1 uur na het innemen van miglustat 65 mg harde capsules beginnen.
 - In geval van een vertraging, mag de start van de infusie niet later zijn dan 3 uur na het innemen van miglustat.
- De infusie van cipaglucozidase alfa duurt ongeveer 4 uur.

Afbeelding 1. Tijdlijn 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.

Overschakelen van een andere enzymvervangende therapie

Als u momenteel wordt behandeld met een andere enzymvervangende therapie:

- Uw arts zal u vertellen wanneer u moet stoppen met de andere enzymvervangende behandeling voordat u begint met Pombiliti.
- Vertel het uw arts wanneer u uw laatste dosis heeft afgerond.

Heeft u te veel van dit middel gekregen?

Als u moeite heeft met ademen, een gezwollen of opgeblazen gevoel heeft, of het gevoel dat uw hart op hol is, heeft u misschien te veel Pombiliti gekregen. Vertel dit onmiddellijk aan uw arts. Een te hoge snelheid van de infusie met Pombiliti kan leiden tot symptomen die verband houden met te veel vocht in het lichaam, zoals kortademigheid, snelle hartslag, of wijdverspreide zwelling in het lichaam.

Heeft u uw dosis Pombiliti gemist?

Als u een infusie heeft gemist, neem dan zo snel mogelijk contact op met uw arts of verpleegkundige om een nieuwe afspraak te maken voor toediening van Pombiliti in combinatie met miglustat 24 uur nadat miglustat voor het laatst werd ingenomen.

Stopt u met het ontvangen van Pombiliti?

Vertel het uw arts als u wilt stoppen met de behandeling met Pombiliti. De symptomen van uw ziekte kunnen verslechteren als u stopt met de behandeling.

4. Mogelijke bijwerkingen

Zoals elk geneesmiddel kan ook dit geneesmiddel bijwerkingen hebben, al krijgt niet iedereen daarmee te maken.

Pombiliti wordt gebruikt met miglustat, en bijwerkingen kunnen optreden bij allebei deze geneesmiddelen. Patiënten kregen vooral last van bijwerkingen tijdens de infusie met Pombiliti (infusiegerelateerde reacties) of kort erna. U moet het uw arts onmiddellijk vertellen als u een infusiegerelateerde reactie of een allergische reactie krijgt. Sommige van deze reacties kunnen ernstig en levensbedreigend worden. Uw arts kan u voorafgaand aan uw infusie middelen geven om deze reacties te voorkomen.

Infusiegerelateerde reacties

De meeste infusiegerelateerde reacties zijn licht of matig van ernst. Symptomen van infusiegerelateerde reacties zijn bijvoorbeeld moeite met ademen, een opgeblazen gevoel, koorts, koude rillingen, duizeligheid, roodheid van de huid, jeukende huid, en huiduitslag.

Allergische reacties

Symptomen van allergische reacties zijn bijvoorbeeld huiduitslag waar dan ook op het lichaam, opgezwollen ogen, langdurige ademhalingsproblemen, hoesten, zwelling van de lippen, tong of keel, jeukende huid, en netelroos.

Zeer vaak (komen voor bij meer dan 1 op de 10 gebruikers)

- hoofdpijn

Vaak (komen voor bij minder dan 1 op de 10 gebruikers)

- hoesten
- plots rood worden van gezicht, hals, of borst
- pijn op de borst
- uitslag, jeuk
- stijging van de bloeddruk
- zweten
- opgeblazen gevoel
- winderigheid
- losse, waterige ontlasting
- braken
- misselijkheid
- koorts of koude rillingen
- netelroos
- zwelling of pijn in het lichaamsgebied waar de naald was ingebracht
- spierkrampen, spierpijn, spierzwakte
- onvrijwillig schudden van een of meer delen van het lichaam
- meer zweten
- pijn
- veranderde smaak
- zich altijd moe of slaperig voelen
- kortademigheid

Soms (komen voor bij minder dan 1 op de 100 gebruikers)

- ademhalingsproblemen en start hoesten, een fluitend geluid (piepende ademhaling) wanneer u uitademt, en kortademigheid (astma)
- allergische reacties
- zwelling van handen, voeten, enkels, benen
- zwelling van de huid
- spijsverteringsklachten
- buikpijn
- constant gevoel van vermoeidheid
- pijn of irritatie in de keel
- pijnlijke en afwijkende samentrekkingen van de keel
- mondirritatie
- mondpijn of ongemak achter in de mond
- pijn in wang, tandvlees, lippen, kin
- verlies van kracht en energie, gevoel van zwakte
- een gevoel van onbehaaglijkheid, algemeen gevoel van loomheid
- branderig gevoel
- kras of schade aan de huid
- veranderingen in lichaamstemperatuur

- afname van een type witte bloedcellen – aangetoond in tests
- slaperigheid
- duizeligheid
- pijn in de gewrichten
- pijn in het gebied tussen de heup en ribben
- spierversmoedigheid
- toegenomen stijfheid van spieren
- kan evenwicht niet bewaren
- lage bloeddruk
- een gevoel van bijna flauwvallen
- pijn in een of beide zijden van het hoofd, kloppende pijn, aura, oogpijn, gevoeligheid voor licht (migraine)
- huidverkleuring

Het melden van bijwerkingen

Krijgt u last van bijwerkingen, neem dan contact op met uw arts, apotheker of verpleegkundige. Dit geldt ook voor mogelijke bijwerkingen die niet in deze bijsluiter staan. U kunt bijwerkingen ook rechtstreeks melden via het nationale meldsysteem zoals vermeld in [aanhangsel V](#). Door bijwerkingen te melden, kunt u ons helpen meer informatie te verkrijgen over de veiligheid van dit geneesmiddel.

5. Hoe bewaart u dit middel?

Uw arts, apotheker of verpleegkundige is verantwoordelijk voor het bewaren van dit geneesmiddel en het op de juiste manier afvoeren van geopende flacons. De volgende informatie is alleen bestemd voor beroepsbeoefenaren in de gezondheidszorg.

Buiten het zicht en bereik van kinderen houden.

Gebruik dit geneesmiddel niet meer na de uiterste houdbaarheidsdatum. Die vindt u op de fles en de doos na de letters EXP. Daar staat een maand en een jaar. De laatste dag van die maand is de uiterste houdbaarheidsdatum.

Ongeopende injectieflacons: Bewaren in de koelkast (2 °C - 8 °C). Bewaar de flacon in de buitenverpakking ter bescherming tegen licht.

Na verdunning wordt onmiddellijk gebruik aanbevolen. Er is evenwel bewaring van de infuuszak met Pombiliti aangetoond gedurende 6 uur bij 20 °C - 25 °C en 24 uur bij 2 °C - 8 °C.

Spoel geneesmiddelen niet door de gootsteen of de WC en gooi ze niet in de vuilnisbak. Vraag uw apotheker wat u met geneesmiddelen moet doen die u niet meer gebruikt. Als u geneesmiddelen op de juiste manier afvoert worden ze op een verantwoorde manier vernietigd en komen ze niet in het milieu terecht.

6. Inhoud van de verpakking en overige informatie

Welke stoffen zitten er in dit middel?

De werkzame stof in dit middel is cipaglucozidase alfa. Eén flacon bevat 105 mg cipaglucozidase alfa. Na reconstitutie bevat de oplossing in de flacon 15 mg cipaglucozidase alfa per ml. De aanbevolen definitieve concentratie cipaglucozidase alfa verdund in de infuuszak varieert van 0,5 mg/ml tot 4 mg/ml.

De andere stoffen in dit middel zijn:

- Natriumcitraatdihydraat (E331)
- Citroenzuurmonohydraat (E330)

- Mannitol (E421)
- Polysorbaat 80 (E433)

Hoe ziet Pombiliti eruit en hoeveel zit er in een verpakking?

Pombiliti is een wit tot lichtgeel poeder. Na reconstitutie ziet het eruit als een heldere tot melkachtige, kleurloze tot lichtgele oplossing, vrij van vreemde deeltjes, die vrijwel geen deeltjes bevat in de vorm van witte tot doorzichtige deeltjes. De gereconstitueerde oplossing moet verder worden verdund in een infuuszak voor infusie.

Pombiliti is een poeder voor concentraat voor oplossing voor infusie in een flacon.

Verpakkingen van 1 flacon, 10 flacons of 25 flacons

Niet alle genoemde verpakkingsgrootten worden in de handel gebracht.

Houder van de vergunning voor het in de handel brengen

Amicus Therapeutics Europe Limited
 Block 1, Blanchardstown Corporate Park
 Ballycoolin Road
 Blanchardstown, Dublin
 D15 AKK1
 Ierland
 Tel: +353 (0) 1 588 0836
 Fax: +353 (0) 1 588 6851
 e-mail: info@amicusrx.co.uk

Fabrikant

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

Neem voor alle informatie over dit geneesmiddel contact op met de lokale vertegenwoordiger van de houder van de vergunning voor het in de handel brengen:

België/Belgique/Belgien

Amicus Therapeutics Europe Limited
 Tél/Tel: (+32) 0800 89172
 e-mail: MedInfo@amicusrx.com

Lietuva

Amicus Therapeutics Europe Limited
 Tel: (+370) 8800 33167
 El. paštas: MedInfo@amicusrx.com

България

Amicus Therapeutics Europe Limited
 Тел.: (+359) 00800 111 3214
 имейл: MedInfo@amicusrx.com

Luxembourg/Luxemburg

Amicus Therapeutics Europe Limited
 Tél/Tel: (+352) 800 27003
 e-mail: MedInfo@amicusrx.com

Česká republika

Amicus Therapeutics Europe Limited
 Tel.: (+420) 800 142 207
 e-mail: MedInfo@amicusrx.com

Magyarország

Amicus Therapeutics Europe Limited
 Tel.: (+36) 06 800 21202
 e-mail: MedInfo@amicusrx.com

Danmark

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tlf.: (+45) 80 253 262
e-mail: MedInfo@amicusrx.com

Deutschland

Amicus Therapeutics GmbH
Tel: (+49) 0800 000 2038
E-Mail: MedInfo@amicusrx.com

Eesti

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel: (+372) 800 0111 911
e-post: MedInfo@amicusrx.com

Ελλάδα

Amicus Therapeutics Europe Limited
Τηλ: (+30) 00800 126 169
e-mail: MedInfo@amicusrx.com

España

Amicus Therapeutics S.L.U.
Tel: (+34) 900 941 616
e-mail: MedInfo@amicusrx.com

France

Amicus Therapeutics SAS
Tél: (+33) 0 800 906 788
e-mail: MedInfo@amicusrx.com

Hrvatska

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel: (+358) 0800 222 452
e-pošta: MedInfo@amicusrx.com

Ireland

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel: (+353) 1800 936 230
e-mail: MedInfo@amicusrx.com

Ísland

Amicus Therapeutics Europe Limited
Sími: (+354) 800 7634
Netfang: MedInfo@amicusrx.com

Italia

Amicus Therapeutics S.r.l.
Tel: (+39) 800 795 572
e-mail: MedInfo@amicusrx.com

Malta

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel: (+356) 800 62674
e-mail: MedInfo@amicusrx.com

Nederland

Amicus Therapeutics BV
Tel: (+31) 20 235 8510 / (+31) 0800 022 8399
e-mail: MedInfo@amicusrx.com

Norge

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tlf: (+47) 800 13837
e-post: MedInfo@amicusrx.com

Österreich

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel: (+43) 0800 909 639
E-Mail: MedInfo@amicusrx.com

Polska

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel.: (+48) 0080 012 15475
e-mail: MedInfo@amicusrx.com

Portugal

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel: (+351) 800 812 531
e-mail: MedInfo@amicusrx.com

România

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel.: (+40) 0808 034 288
e-mail: MedInfo@amicusrx.com

Slovenija

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel.: (+386) 0800 81794
e-pošta: MedInfo@amicusrx.com

Slovenská republika

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel: (+421) 0800 002 437
e-mail: MedInfo@amicusrx.com

Suomi/Finland

Amicus Therapeutics Europe Limited
Puh/Tel: (+358) 0800 917 780
sähköposti/e-mail: MedInfo@amicusrx.com

Κύπρος

Amicus Therapeutics Europe Limited
Τηλ: (+357) 800 97595
e-mail: MedInfo@amicusrx.com

Sverige

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tfn: (+46) 020 795 493
e-post: MedInfo@amicusrx.com

Latvija

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel: (+371) 800 05391
e-pasts: MedInfo@amicusrx.com

United Kingdom (Northern Ireland)

Amicus Therapeutics, UK Limited
Tel: (+44) 08 0823 46864
e-mail: MedInfo@amicusrx.com

Deze bijsluiter is voor het laatst goedgekeurd in

Andere informatiebronnen

Meer informatie over dit geneesmiddel is beschikbaar op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: <http://www.ema.europa.eu>. Hier vindt u ook verwijzingen naar andere websites over zeldzame ziektes en hun behandelingen.