

## **Bijsluiter: informatie voor de patiënt**

### **Xenpozyme 4 mg poeder voor concentraat voor oplossing voor infusie Xenpozyme 20 mg poeder voor concentraat voor oplossing voor infusie olipudase 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 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 of verpleegkundige.

#### **Inhoud van deze bijsluiter**

1. Wat is Xenpozyme 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 Xenpozyme en waarvoor wordt dit middel gebruikt?**

##### **Wat is Xenpozyme?**

Xenpozyme bevat een enzym met de naam olipudase alfa.

##### **Waarvoor wordt dit middel gebruikt?**

Dit middel wordt gebruikt voor de behandeling van een erfelijke aandoening die zure-sfingomyelinasedeficiëntie (ASMD) wordt genoemd. Het wordt gebruikt bij kinderen en volwassenen met ASMD type A/B of B om de tekenen en klachten van ASMD te behandelen die geen verband houden met het centrale zenuwstelsel.

##### **Hoe werkt dit middel?**

Bij patiënten met ASMD ontbreekt een goed werkende versie van het enzym zure sfingomyelinase. Dit leidt tot de opstapeling van een stof die sfingomyeline wordt genoemd en die organen zoals milt, lever, hart, longen en bloed beschadigt. Olipudase alfa werkt op dezelfde manier als het natuurlijke enzym, en werkt dus als vervanging, waardoor de opstapeling van sfingomyeline in de organen wordt verminderd en tekenen en klachten worden behandeld.

#### **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 levensbedreigende allergische (anafylactische) reacties op olipudase alfa heeft ervaren (zie hieronder de paragraaf ‘Wanneer moet u extra voorzichtig zijn met dit middel?’) of op een van de andere stoffen in dit geneesmiddel. Deze stoffen kunt u vinden in rubriek 6.

##### **Wanneer moet u extra voorzichtig zijn met dit middel?**

U kunt bijwerkingen krijgen die infusiegerelateerde reacties (IRR's) worden genoemd en die kunnen worden veroorzaakt door de infusie (indruppeling) van het geneesmiddel. Ze kunnen optreden terwijl u dit middel toegediend krijgt of binnen 24 uur na de infusie.

Dit kunnen allergische reacties zijn (zie rubriek 4) en klachten zoals hoofdpijn, jeukende huiduitslag (galbulten), koorts, misselijkheid, braken en jeukende huid.

Als u denkt dat u een IRR heeft, **vertel dit dan onmiddellijk aan uw arts.**

Als u tijdens uw infusie een ernstige allergische reactie krijgt, moet uw arts uw infusie stopzetten en passende medische behandeling verstrekken. Uw arts zal de risico's en voordelen van het opnieuw toedienen van dit middel in overweging nemen.

Als u een lichte of matige IRR heeft, kan uw arts of verpleegkundige de infusie tijdelijk stopzetten, de infusiesnelheid verlagen en/of de dosis verlagen.

Uw arts kan u ook andere geneesmiddelen geven (of hebben gegeven) om allergische reacties te voorkomen of te behandelen.

Uw arts zal bloedtesten aanvragen om te controleren hoe goed uw lever werkt (door het gehalte van uw leverenzymen te bepalen) voordat u met de behandeling begint, en daarna met regelmatige tussenpozen tijdens de dosisaanpassing (zie rubriek 3).

### **Gebruikt u nog andere geneesmiddelen?**

Gebruikt u naast Xenpozyme nog andere geneesmiddelen, heeft u dat kort geleden gedaan of bestaat de mogelijkheid dat u binnenkort andere geneesmiddelen gaat gebruiken? Vertel dat dan uw arts of verpleegkundige.

### **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 verpleegkundige voordat u dit geneesmiddel gebruikt.

Er is geen ervaring met het gebruik van dit middel bij zwangere vrouwen. Dit middel kan schadelijk zijn voor ongeboren kinderen bij gebruik tijdens de zwangerschap. Dit middel mag alleen tijdens de zwangerschap gebruikt worden als dat echt nodig is. Vrouwen die zwanger kunnen worden, dienen effectieve anticonceptie te gebruiken tijdens de behandeling en gedurende 14 dagen na de laatste dosis als Xenpozyme wordt stopgezet.

Het is niet bekend of dit middel overgaat in de menselijke moedermelk. Xenpozyme werd aangetroffen in dierlijke melk. Vertel het uw arts als u borstvoeding geeft of van plan bent borstvoeding te geven. Uw arts zal u dan helpen beslissen of u wilt stoppen met het geven van borstvoeding of met het gebruiken van dit middel, rekening houdend met het voordeel van borstvoeding voor de baby en het voordeel van dit middel voor de moeder.

### **Rijvaardigheid en het gebruik van machines**

Xenpozyme kan geringe invloed hebben op de rijvaardigheid en op het vermogen om machines te bedienen, omdat u last kunt krijgen van lage bloeddruk (waardoor u zich zwak en duizelig kunt voelen).

### **Xenpozyme bevat natrium**

Dit geneesmiddel bevat 0,60 mg natrium (een belangrijk bestanddeel van keukenzout/tafelzout) per injectieflacon van 4 mg of 3,02 mg natrium per injectieflacon van 20 mg. Dit komt overeen met respectievelijk 0,03 % en 0,15% van de aanbevolen maximale dagelijkse hoeveelheid natrium in de voeding voor een volwassene of een jongvolwassene en respectievelijk  $\leq 0,08\%$  en  $\leq 0,38\%$  van de maximaal aanvaardbare dagelijkse inname van natrium voor kinderen jonger dan 16 jaar.

## **3. Hoe gebruikt u dit middel?**

Xenpozyme wordt intraveneus aan u gegeven (infusie) onder toezicht van een professionele zorgverlener die ervaring heeft met de behandeling van ASMD of andere metabole ziekten.

De dosis die u krijgt, is gebaseerd op uw lichaamsgewicht en u krijgt deze om de twee weken. De behandeling begint met een lage dosis van het geneesmiddel, die geleidelijk wordt verhoogd. De infusie duurt meestal ongeveer 3 tot 4 uur; maar kan korter of langer zijn op basis van het oordeel van uw arts, en kan korter zijn tijdens de periode waarin uw dosis wordt verhoogd.

#### Volwassen patiënten

De aanbevolen startdosering is 0,1 mg voor elke kg lichaamsgewicht. Deze wordt bij elke daaropvolgende dosis op een geplande manier verhoogd tot aan de aanbevolen dosis van 3 mg voor elke kg lichaamsgewicht om de 2 weken. Het duurt meestal maximaal 14 weken om de aanbevolen dosis te bereiken, maar dit kan langer duren op basis van het oordeel van uw arts.

#### Kinderen

De aanbevolen startdosering is 0,03 mg voor elke kg lichaamsgewicht. De daaropvolgende doseringen moeten op een geplande manier worden verhoogd tot de aanbevolen dosis van 3 mg voor elke kg lichaamsgewicht om de 2 weken. Het duurt meestal maximaal 16 weken om de aanbevolen dosis te bereiken, maar dit kan langer duren op basis van het oordeel van uw arts.

#### Thuisinfusie

Uw arts kan overwegen om dit middel thuis toe te dienen als u een stabiele dosis krijgt en uw infusies goed verdraagt. Deze beslissing om thuisinfusies toe te passen, moet worden genomen na beoordeling en aanbeveling door uw arts. Als u een bijwerking krijgt tijdens een infusie met dit middel, kan de persoon die de thuisinfusie aan u toedient de infusie stopzetten en een passende medische behandeling starten.

#### Instructies voor correct gebruik

Dit middel wordt toegediend via intraveneuze (IV) infusie (een druppelsgewijze toediening in een ader). Het wordt geleverd als een poeder dat met steriel water wordt gemengd voordat het wordt toegediend.

#### **Heeft u te veel van dit middel gekregen?**

Breng uw arts onmiddellijk op de hoogte als u een afwijking constateert van uw gewone infusie. Omdat dit middel wordt toegediend door een professional in de gezondheidszorg, is een overdosis niet waarschijnlijk.

#### **Bent u vergeten dit middel te gebruiken?**

Het is belangrijk om uw infusie om de 2 weken te krijgen. Een infusie wordt als gemist beschouwd als deze niet binnen 3 dagen na de geplande infusie wordt gegeven. Afhankelijk van het aantal gemiste doses moet u mogelijk opnieuw beginnen met een lagere dosis.

Als u een infusie heeft gemist of niet naar een geplande afspraak kunt komen, neem dan onmiddellijk contact op met uw arts.

Heeft u nog andere vragen over het gebruik van dit geneesmiddel? Neem dan contact op met uw arts of verpleegkundige.

## **4. Mogelijke bijwerkingen**

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

Infusiegerelateerde reacties (IRR's) zijn waargenomen terwijl patiënten het geneesmiddel kregen of binnen 24 uur na de infusie.

De ernstigste bijwerkingen zijn onder meer plotselinge ernstige allergische reacties, jeukende uitslag (galbulten), huiduitslag, verhoogde leverenzymen en onregelmatige hartslag.

Als u last krijgt van een IRR of een allergische reactie ervaart, meld dit dan onmiddellijk aan uw arts. Als u een infusiereactie heeft, kunt u extra geneesmiddelen krijgen om toekomstige reacties te behandelen of te helpen voorkomen. Als de infusiereactie ernstig is, kan uw arts de infusie van dit middel stopzetten en beginnen met het verstrekken van de juiste medische behandeling.

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

- Hoofdpijn
- Koorts - verhoogde lichaamstemperatuur
- Jeukende uitslag (galbulten)
- Misselijkheid
- Braken
- Buikpijn
- Spierpijn
- Jeukende huid
- Verhoogde ontstekingswaarden bij bloedonderzoek

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

- Uitslag (verschillende soorten huiduitslag, soms met jeuk)
- Pijn in de bovenbuik
- Vermoeidheid
- Afwijkende bloedtest voor leverfunctie
- Diarree
- Rood worden van de huid
- Gewrichtspijn
- Rugpijn
- Koude rillingen
- Moeilijk ademen
- Ongemak in de buik
- Botpijn
- Pijn
- Lage bloeddruk
- Krachtige hartslag die snel of onregelmatig kan zijn
- Snelle hartslag
- Leverpijn
- Ernstige allergische reacties
- Het erg warm hebben
- Irritatie van de keel en het strottenhoofd
- Keelbeklemming en -zwellen
- Piepende ademhaling
- Huidafwijkingen (zoals vaste, verdikte of rode, platte huidafwijkingen)
- Snelle onderhuidse zwelling in gebieden zoals het gezicht, de keel, armen en benen, wat levensbedreigend kan zijn als zwelling van de keel de luchtwegen blokkeert
- Maagpijn
- Jeukende of rode ogen
- Ongemak in de ogen
- Zwakte
- Afwijkende bloedtest voor ontsteking
- Reacties op de plaats van de katheter, waaronder pijn, jeuk of zwelling

**Het melden van bijwerkingen**

Krijgt u last van bijwerkingen, neem dan contact op met uw arts 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?

Buiten het zicht en bereik van kinderen houden.

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

Bewaren in de koelkast tussen 2°C en 8°C.

Na verdunning wordt onmiddellijk gebruik aanbevolen.

Als de gereconstitueerde oplossing niet onmiddellijk wordt gebruikt, kan deze maximaal 24 uur worden bewaard bij 2°C tot 8°C.

Na verdunning kan de oplossing maximaal 24 uur worden bewaard bij 2–8°C, gevolgd door 12 uur (inclusief infusietijd) bij kamertemperatuur.

Spoel geneesmiddelen niet door de gootsteen of de WC en gooi ze niet in de vuilnisbak. Vraag uw arts of verpleegkundige 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 olipudase alfa. Eén injectieflacon bevat 4 mg of 20 mg olipudase alfa.

De andere stoffen in dit middel zijn

- L-methionine
- dibasisch natriumfosfaatheptahydraat
- monobasisch natriumfosfaatmonohydraat
- sucrose

Zie rubriek 2 'Xenpozyme bevat natrium'.

### Hoe ziet Xenpozyme eruit en hoeveel zit er in een verpakking?

Xenpozyme is een poeder voor concentraat voor oplossing voor infusie in een injectieflacon (4 mg of 20 mg/injectieflacon).

Het poeder is wit tot gebroken wit gelyofiliseerd poeder.

Na het mengen met steriel water is het een heldere, kleurloze oplossing. De oplossing moet vóór de infusie verder worden verdund.

### Houder van de vergunning voor het in de handel brengen en fabrikant

Sanofi B.V., Paasheuvelweg 25, 1105 BP Amsterdam, Nederland

### Fabrikant

Genzyme Ireland Limited, IDA Industrial Park, Old Kilmeaden Road, Waterford, Ierland

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**

Sanofi Belgium  
Tél/Tel: +32 (0)2 710 54 00

**България**

Swixx Biopharma EOOD  
Тел.: +359 (0)2 4942 480

**Česká republika**

sanofi-aventis, s.r.o.  
Tel: +420 233 086 111

**Danmark**

Sanofi A/S  
Tlf: +45 45 16 70 00

**Deutschland**

Sanofi-Aventis Deutschland GmbH  
Tel.: 0800 04 36 996  
Tel. aus dem Ausland: +49 69 305 70 13

**Eesti**

Swixx Biopharma OÜ  
Tel: +372 640 10 30

**Ελλάδα**

Sanofi-Aventis Μονοπρόσωπη ΑΕΒΕ  
Τηλ: +30 210 900 16 00

**España**

sanofi-aventis, S.A.  
Tel: +34 93 485 94 00

**France**

Sanofi Winthrop Industrie  
Tél: 0 800 222 555  
Appel depuis l'étranger : +33 1 57 63 23 23

**Hrvatska**

Swixx Biopharma d.o.o.  
Tel: +385 1 2078 500

**Ireland**

sanofi-aventis Ireland Ltd. T/A SANOFI  
Tel: +353 (0) 1 403 56 00

**Ísland**

Vistor hf.  
Sími: +354 535 7000

**Italia**

Sanofi S.r.l.  
Tel: 800 536389

**Lietuva**

Swixx Biopharma UAB  
Tel: +370 5 236 91 40

**Luxembourg/Luxemburg**

Sanofi Belgium  
Tél/Tel: +32 (0)2 710 54 00 (Belgique/Belgien)

**Magyarország**

SANOFI-AVENTIS Zrt.  
Tel.: +36 1 505 0050

**Malta**

Sanofi S.r.l.  
Tel: +39 02 39394275

**Nederland**

Sanofi B.V.  
Tel: + 31 20 245 4000

**Norge**

sanofi-aventis Norge AS  
Tlf: +47 67 10 71 00

**Österreich**

sanofi-aventis GmbH  
Tel: +43 1 80 185 – 0

**Polska**

sanofi-aventis Sp. z o.o.  
Tel.: +48 22 280 00 00

**Portugal**

Sanofi - Produtos Farmacêuticos, Lda  
Tel: +351 21 35 89 400

**România**

Sanofi Romania SRL  
Tel: +40 (0) 21 317 31 36

**Slovenija**

Swixx Biopharma d.o.o.  
Tel: +386 1 235 51 00

**Slovenská republika**

Swixx Biopharma s.r.o.  
Tel: +421 2 208 33 600

**Suomi/Finland**

Sanofi Oy  
Puh/Tel: +358 (0) 201 200 300

**Κύπρος**  
C.A. Papaellinas Ltd.  
Τηλ: +357 22 741741

**Sverige**  
Sanofi AB  
Tel: +46 (0)8 634 50 00

**Latvija**  
Swixx Biopharma SIA  
Tel: +371 6 616 47 50

**United Kingdom (Northern Ireland)**  
sanofi-aventis Ireland Ltd. T/A SANOFI  
Tel: +44 (0) 800 035 2525

## 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.

Deze bijsluiter is beschikbaar in alle EU/EER-talen op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau en op de website van Sanofi [www.xenpozyme.info.sanofi](http://www.xenpozyme.info.sanofi), of door de QR-code op de buitenverpakking en de bijsluiter met een smartphone te scannen.

<tijdelijke aanduiding voor QR-code>

<----->

De volgende informatie is alleen bestemd voor beroepsbeoefenaren in de gezondheidszorg:

### Bereiding van de doseringsoplossing

Het poeder voor concentraat voor oplossing voor infusie moet worden gereconstitueerd met steriel water voor injectie, worden verdund met 9 mg/ml (0,9%) natriumchlorideoplossing en vervolgens worden toegediend via intraveneuze infusie.

De stappen voor reconstitutie en verdunning moeten onder aseptische omstandigheden worden uitgevoerd. Op geen enkel moment tijdens de voorbereiding van de infusieoplossing mogen filterapparaten worden gebruikt. Vermijd schuimvorming tijdens reconstitutie- en verdunningsstappen.

- 1) Bepaal het aantal injectieflacons dat gereconstitueerd moet worden op basis van het gewicht van de individuele patiënt en de voorgeschreven dosis.  
Gewicht van de patiënt (kg) × dosis (mg/kg) = dosis van de patiënt (in mg). Bijvoorbeeld, bij gebruik van injectieflacons van 20 mg: patiëntdosis (in mg) gedeeld door 20 mg/injectieflacon = aantal injectieflacons om te reconstitueren. Als het aantal injectieflacons een fractie bevat, rondt u af naar het volgende hele getal.
- 2) Haal het vereiste aantal injectieflacons uit de koeling en leg deze ongeveer 20 tot 30 minuten opzij om ze op kamertemperatuur te laten komen.
- 3) Reconstitueer elke injectieflacon door het volgende te injecteren:  
1,1 ml steriel water voor injectie in de injectieflacon van 4 mg  
5,1 ml steriel water voor injectie in de injectieflacon van 20 mg  
met behulp van de langzame druppeltechniek langs de binnenwand van de injectieflacon.
- 4) Iedere injectieflacon voorzichtig kantelen en rollen. Elke injectieflacon geeft een heldere, kleurloze oplossing van 4 mg/ml.
- 5) Voer onmiddellijk een visuele inspectie uit op de gereconstitueerde injectieflacons en controleer op deeltjes en verkleuring. De Xenpozyme-oplossing moet helder en kleurloos zijn. Injectieflacons met ondoorzichtige deeltjes of verkleuring mogen niet worden gebruikt.
- 6) Trek het volume gereconstitueerde oplossing, overeenkomend met de voorgeschreven dosis, op uit het juiste aantal injectieflacons en verdun met 9 mg/ml (0,9%) natriumchlorideoplossing voor injectie in een spuit of infusiezak afhankelijk van het volume van het infusie (zie tabel 1 voor het aanbevolen totale infusievolume op basis van leeftijd en/of gewicht van de patiënt.