Folheto informativo: Informação para o utilizador

KANUMA 2 mg/ml concentrado para solução para perfusão sebelipase alfa

Este medicamento está sujeito a monitorização adicional. Isto irá permitir a rápida identificação de nova informação de segurança. Poderá ajudar, comunicando quaisquer efeitos indesejáveis que você ou o seu filho tenham. Para saber como comunicar efeitos indesejáveis, veja o final da secção 4.

Leia com atenção todo este folheto antes de lhe ser administrado este medicamento, pois contém informação importante para si.

- Conserve este folheto. Pode ter necessidade de o ler novamente.
- Caso ainda tenha dúvidas, fale com o seu médico.
- Se tiver quaisquer efeitos indesejáveis, incluindo possíveis efeitos indesejáveis não indicados neste folheto, fale com o seu médico. Ver secção 4.

O que contém este folheto:

- 1. O que é KANUMA e para que é utilizado
- 2. O que precisa de saber antes de lhe ser administrado KANUMA
- 3. Como é administrado KANUMA
- 4. Efeitos indesejáveis possíveis
- 5. Como conservar KANUMA
- 6. Conteúdo da embalagem e outras informações

1. O que é KANUMA e para que é utilizado

KANUMA contém a substância ativa sebelipase alfa. A sebelipase alfa é semelhante à enzima natural lipase ácida lisossomal (LAL), que o organismo utiliza para decompor as gorduras. É utilizada para tratar doentes de todas as idades com deficiência de lipase ácida lisossomal (deficiência de LAL).

A deficiência de LAL é uma doença genética que conduz a danos no figado, colesterol elevado no sangue e outras complicações devido à acumulação de certos tipos de gorduras (ésteres do colesterol e triglicéridos).

Como funciona o KANUMA

Este medicamento é uma terapêutica de substituição enzimática. Tal significa que substitui a enzima LAL que está em falta ou é deficiente nos doentes com deficiência de LAL. Este medicamento funciona diminuindo a acumulação de gordura que causa complicações médicas, incluindo deficiências de crescimento, danos no figado e complicações cardíacas. Melhora também os níveis de gorduras no sangue, incluindo LDL elevado (colesterol mau) e triglicéridos.

2. O que precisa de saber antes de lhe ser administrado KANUMA

Não lhe pode ser administrado KANUMA

Se você ou o seu filho já tiveram reações alérgicas potencialmente fatais à sebelipase alfa que não possam ser controladas quando você ou o seu filho receberem novamente o medicamento, ou a ovo ou a qualquer outro componente deste medicamento (indicados na secção 6).

Advertências e precauções

Se forem tratados com KANUMA, você ou o seu filho poderão ter um efeito indesejável enquanto lhes está a ser administrado o medicamento ou durante as horas após a perfusão (ver secção 4). Tal é conhecido como uma reação à perfusão (administração gota-a-gota) que por vezes pode ser grave e pode incluir uma reação alérgica, que pode pôr a vida em risco e

necessitar de tratamento médico. A primeira vez que Kanuma é administrado a si ou ao seu filho, deve ser observado por um profissional de saúde durante 1 hora para despistar quaisquer sinais de uma reação à perfusão. Se você ou o seu filho tiverem uma reação grave à perfusão como esta, procure imediatamente assistência médica. Se você ou o seu filho tiverem uma reação à perfusão poderão ser-lhes administrados medicamentos adicionais para tratar ou ajudar a prevenir reações futuras. Estes medicamentos poderão incluir antialérgicos, medicamentos para reduzir a febre e/ou corticosteroides (um tipo de medicamento anti-inflamatório). Se a reação à perfusão for grave, o seu médico poderá parar a perfusão de KANUMA e começar a administrar a si ou ao seu filho o tratamento médico apropriado.

- Durante o tratamento, pode ocorrer o desenvolvimento de proteínas contra KANUMA no sangue, também chamadas anticorpos antifármaco. Fale com o seu médico se a eficácia de KANUMA diminuir.
- Este medicamento pode conter proteínas de ovo. Se você ou o seu filho tiverem alergia ao ovo ou antecedentes de alergias a ovos, informe o seu médico ou enfermeiro (ver **Não lhe pode ser administrado KANUMA**).

Outros medicamentos e KANUMA

Informe o seu médico se você ou o seu filho estiverem a utilizar, tiverem utilizado recentemente ou se vierem a utilizar outros medicamentos.

Gravidez

A quantidade de dados sobre a utilização de sebelipase alfa em mulheres grávidas é inexistente. Como medida de precaução, não lhe deve ser administrado KANUMA se estiver grávida.

Amamentação

Não se sabe se a sebelipase alfa passa para o leite humano. Informe o seu médico se estiver a amamentar ou se planeia fazê-lo. O seu médico ajudá-la-á a decidir se deve parar a amamentação ou se dever parar de tomar KANUMA, tendo em conta o benefício da amamentação para o bebé e o benefício de KANUMA para a mãe.

Se está grávida ou a amamentar, se pensa estar grávida ou planeia engravidar, consulte o seu médico antes de utilizar este medicamento.

Condução de veículos e utilização de máquinas

KANUMA pode ter um efeito reduzido sobre a capacidade de conduzir e utilizar máquinas. Os efeitos adversos da sebelipase alfa incluem tonturas, as quais podem afetar a capacidade de conduzir ou utilizar máquinas.

KANUMA contém sódio

Este medicamento, quando diluído com uma solução para perfusão de cloreto de sódio a 9 mg/ml (0,9%) para administração intravenosa, contém 33 mg de sódio (o componente principal do sal de cozinha/mesa) na dose recomendada. Isto é equivalente a 1,7% da ingestão diária máxima de sódio recomendada na dieta para um adulto. Informe o seu médico se você ou o seu filho estão a fazer uma dieta com ingestão controlada de sódio.

3. Como é administrado KANUMA

A dose que você ou o seu filho recebem é baseada no seu peso corporal ou no peso corporal do seu filho.

Lactentes (< 6 meses de idade)

Para os doentes que apresentam sinais e sintomas da doença em lactentes, a dose inicial recomendada é de 1 mg/kg ou 3 mg/kg uma vez por semana. Poderão considerar-se ajustes da dose com base na resposta do seu filho ao tratamento.

Crianças e adultos

A dose recomendada é de 1 mg por kg de peso corporal, uma vez em semanas alternadas, através de um gota-a-gota numa veia. Os ajustes posológicos poderão ser considerados com base na resposta do doente ao tratamento.

Cada perfusão durará aproximadamente 1 a 2 horas. Você ou o seu filho poderão ser monitorizados pelo médico ou enfermeiro durante uma hora adicional após a perfusão. KANUMA deverá ser iniciado numa idade o mais precoce possível e destina-se a ser utilizado por um período prolongado.

O seu médico ou enfermeiro irá administrar KANUMA a si ou ao seu filho por perfusão (gota a gota) numa veia. O medicamento será diluído antes de ser administrado a si ou ao seu filho.

4. Efeitos indesejáveis possíveis

Como todos os medicamentos, este medicamento pode causar efeitos indesejáveis, embora estes não se manifestem em todas as pessoas.

Os efeitos indesejáveis foram observados enquanto o medicamento estava a ser administrado aos doentes ou pouco depois (reações à perfusão). Os efeitos indesejáveis mais graves poderão incluir uma reação alérgica (observados com muita frequência [podem afetar mais de 1 em 10 pessoas] em lactentes com menos de 6 meses de idade ou com frequência [podem afetar até 1 em 10 pessoas] em crianças e adultos) com sintomas que incluem dificuldade em respirar, respiração rápida, batimento do coração rápido, desconforto no peito, inchaço ligeiro das pálpebras, olhos vermelhos, corrimento nasal, rubor, urticária, comichão, diarreia, palidez, pieira, níveis baixos de oxigénio no sangue, vermelhidão da pele e irritabilidade. **Se você ou o seu filho tiverem sintomas como estes, procure imediatamente assistência médica.** Se você ou o seu filho tiverem uma reação à perfusão poderão ser-lhes administrados medicamentos adicionais para tratar ou ajudar a prevenir reações futuras. Se a reação à perfusão for grave, o seu médico poderá parar a perfusão de KANUMA na veia e começar a administrar um tratamento médico apropriado.

Os efeitos indesejáveis muito frequentes (podem afetar mais do que 1 em 10 pessoas) notificados em lactentes (1 a 6 meses de idade) são:

Hipersensibilidade (irritabilidade, agitação, vómitos, urticária, eczema, comichão, palidez e hipersensibilidade aos medicamentos), reações alérgicas graves (reações anafiláticas)

Inchaço das pálpebras

Batimento rápido do coração

Dificuldade em respirar

Diarreia, vómitos

Erupção na pele, erupção na pele saliente

Febre

Diminuição do oxigénio no sangue, aumento da tensão arterial, respiração rápida, desenvolvimento de proteínas no sangue

Os efeitos indesejáveis muito frequentes (podem afetar mais do que 1 em 10 pessoas) notificados em crianças e adolescentes (4 aos 18 anos de idade) e adultos são:

Hipersensibilidade (arrepios, eczema, inchaço da laringe, náuseas, comichão e urticária)

Tonturas

Dores de estômago, diarreia

Cansaço, febre

Os efeitos indesejáveis frequentes (podem afetar até 1 em 10 pessoas) notificados em crianças e adolescentes (4 aos 18 anos de idade) e adultos são:

Reação alérgica grave (reação anafilática) Batimento rápido do coração Vermelhidão da pele, tensão arterial baixa Falta de ar Inchaço do estômago Erupção, pele vermelha inchada Desconforto no peito, reação no local de perfusão

A frequência, tipo e gravidade das reações adversas nas crianças são semelhantes aos dos adultos.

Comunicação de efeitos indesejáveis

Se você ou o seu filho tiverem quaisquer efeitos indesejáveis, incluindo possíveis efeitos indesejáveis não indicados neste folheto, fale com o seu médico. Também poderá comunicar efeitos indesejáveis diretamente através do sistema nacional de notificação mencionado no <u>Apêndice V</u>. Ao comunicar efeitos indesejáveis, estará a ajudar a fornecer mais informações sobre a segurança deste medicamento.

5. Como conservar KANUMA

Manter este medicamento fora da vista e do alcance das crianças.

Não utilize este medicamento após o prazo de validade impresso no rótulo e na embalagem exterior, após EXP. O prazo de validade corresponde ao último dia do mês indicado.

Conservar no frigorífico (2 °C a 8 °C). Não congelar. Não agitar. Conservar na embalagem de origem para proteger da luz.

Para as soluções diluídas, recomenda-se a utilização imediata. Caso não seja utilizada imediatamente, a solução diluída poderá ser conservada até 24 horas entre 2 °C e 8 °C ou até 12 horas abaixo de 25 °C.

Não deite fora quaisquer medicamentos na canalização ou no lixo doméstico. Pergunte ao seu farmacêutico como deitar fora os medicamentos que já não utiliza. Estas medidas ajudarão a proteger o ambiente.

6. Conteúdo da embalagem e outras informações

Qual a composição de KANUMA

- A substância ativa é sebelipase alfa. Cada ml de concentrado contém 2 mg de sebelipase alfa. Cada frasco para injetáveis contém 20 mg de sebelipase alfa em 10 ml.
- Os outros componentes são citrato de sódio (ver secção 2 em 'KANUMA contém sódio'), ácido cítrico monohidratado, albumina sérica humana e água para preparações injetáveis.

Qual o aspeto de KANUMA e conteúdo da embalagem

KANUMA é fornecido sob a forma de concentrado para solução para perfusão (concentrado estéril). É uma solução transparente a ligeiramente opalescente e incolor a ligeiramente colorida.

Apresentações: 1 frasco para injetáveis contendo 10 ml de concentrado.

Titular da Autorização de Introdução no Mercado e Fabricante

<u>Titular da Autorização de Introdução no Mercado</u> Alexion Europe SAS 103-105 rue Anatole France 92300 Levallois-Perret França

Fabricante:

Almac Pharma Services Seagoe Industrial Estate Craigavon BT63 5UA Reino Unido

Alexion Pharma International Operations Limited College Business and Technology Park Blanchardstown Road North Dublin 15 D15 R925 Irlanda

Este folheto foi revisto pela última vez em .

Outras fontes de informação

Está disponível informação pormenorizada sobre este medicamento no sítio da internet da Agência Europeia de Medicamentos: http://www.ema.europa.eu. Também existem *links* para outros sítios da internet sobre doenças raras e tratamentos.

A informação que se segue destina-se apenas aos profissionais de saúde:

Na ausência de estudos de compatibilidade, este medicamento não deve ser misturado com outros medicamentos.

Cada frasco para injetáveis de KANUMA destina-se a uma única utilização. KANUMA tem de ser diluído com solução para perfusão de cloreto de sódio a 9 mg/ml (0,9%), utilizando técnica asséptica. A solução diluída deve ser administrada aos doentes utilizando um kit de perfusão de baixa ligação às proteínas equipado com um filtro de 0,2 µm em linha de baixa ligação às proteínas, com uma área de superfície superior a 4,5 cm² conforme disponível para evitar a oclusão do filtro.

Preparação da perfusão de sebelipase alfa

KANUMA deve ser preparado e utilizado de acordo com os seguintes passos. Deve utilizar-se uma técnica asséptica.

- a. O número de frascos para injetáveis a diluir para perfusão deve ser determinado com base no peso do doente e na dose prescrita.
- b. Recomenda-se aguardar que os frascos para injetáveis de KANUMA atinjam uma temperatura entre 15 °C e 25 °C antes da diluição para minimizar o potencial de formação de partículas da proteína sebelipase alfa na solução. Os frascos para injetáveis não devem ficar fora do frigorífico mais de 24 horas antes da diluição para perfusão. Os frascos para injetáveis não devem ser congelados, aquecidos ou colocados no micro-ondas e devem ser protegidos da luz.
- c. Os frascos para injetáveis não devem ser agitados. Antes da diluição, o concentrado nos frascos para injetáveis deve ser inspecionado visualmente; o concentrado deve ser transparente a ligeiramente opalescente, incolor a ligeiramente colorido (amarelo). Devido à natureza proteica do medicamento, poderão encontrar-se partículas ligeiras (por exemplo, fibras translúcidas finas) no concentrado contido nos frascos para injetáveis, o que é aceitável para utilização.
- d. Não utilizar se o concentrado estiver turvo ou se contiver partículas estranhas.
- e. Até 10 ml de concentrado devem ser retirados lentamente de cada frasco para injetáveis e diluídos com solução para perfusão de cloreto de sódio a 9 mg/ml (0,9%). Ver Tabela 1 para os volumes totais de perfusão recomendados por intervalo de peso. A solução deve ser cuidadosamente misturada e não deve ser agitada.