Folheto informativo: Informação para o doente

Pombiliti 105 mg pó para concentrado para solução para perfusão
cipaglucosidase 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 tenha. 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, farmacêutico ou enfermeiro.
- Se tiver quaisquer efeitos indesejáveis, incluindo possíveis efeitos indesejáveis não indicados neste folheto, fale com o seu médico, farmacêutico ou enfermeiro. Ver secção 4.

O que contém este folheto
1. O que é Pombiliti e para que é utilizado
2. O que tem de saber antes de lhe ser administrado Pombiliti
3. Como administrar Pombiliti
4. Efeitos indesejáveis possíveis
5. Como conservar Pombiliti
6. Conteúdo da embalagem e outras informações

1. O que é Pombiliti e para que é utilizado

O que é Pombiliti
Pombiliti é um tipo de "terapêutica de substituição enzimática" (TSE) que é utilizada no tratamento da doença de Pompe de início tardio em adultos. Este contém a substância ativa "cipaglucosidase alfa".

Para que é utilizado
Pombiliti é sempre utilizado com outro medicamento chamado miglustat 65 mg cápsulas. É muito importante que também leia o folheto informativo de miglustat 65 mg cápsulas.

Se tiver quaisquer dúvidas sobre os seus medicamentos, fale com o seu médico ou farmacêutico.

Como funciona Pombiliti
As pessoas com doença de Pompe têm níveis baixos da enzima alfa-glucosidase ácida (GAA). Esta enzima ajuda a controlar os níveis de glicogénio (um tipo de hidrato de carbono) no corpo.

Na doença de Pompe, acumulam-se níveis elevados de glicogénio nos músculos do corpo. Isto impede que os músculos, tais como os músculos que o ajudam a caminhar, os músculos sob os pulmões que o ajudam a respirar e o músculo cardíaco, funcionem corretamente.
Pombiliti entra nas células musculares que são afetadas pela doença de Pompe. Quando está no interior das células, o medicamento funciona como a GAA para ajudar a decompor o glicogénio e a controlar os seus níveis.

2. O que tem de saber antes de lhe ser administrado Pombiliti

Não pode tomar Pombiliti
- Se já tiver tido reações de hipersensibilidade com risco de vida a:
  - cipaglucosidase alfa
  - miglustat
  - outros componentes deste medicamento (indicados na secção 6).

- Se uma perfusão anterior teve de ser interrompida e não pôde ser reiniciada devido a reações de hipersensibilidade com risco de vida.

Advertências e precauções
Fale com o seu médico, farmacêutico ou enfermeiro antes de utilizar Pombiliti.

Fale com o seu médico ou enfermeiro imediatamente se isto se aplica a si, se pensa que pode aplicar-se a si ou se já tiver tido quaisquer dessas reações com outra terapêutica de substituição enzimática (TSE):
- reações alérgicas incluindo anafilaxia (uma reação alérgica grave) – ver secção 4 em "Possíveis efeitos secundários" para saber quais os sintomas de reações com possível risco de vida.
- reação associada à perfusão enquanto está a receber o medicamento ou nas horas que se seguem - ver secção 4 em 'Possíveis efeitos secundários', para sintomas de reações que ponham a vida em risco.

Informe o seu médico se tem um historial de doença cardíaca ou pulmonar. Estas condições podem agravar-se durante ou imediatamente a seguir à perfusão de Pombiliti. Informe imediatamente um médico ou enfermeiro se sentir falta de ar, tosse, ritmo cardíaco rápido ou irregular ou qualquer outro efeito destas condições.

Informe igualmente o seu médico se tiver as pernas inchadas ou o corpo inchado, reação cutânea grave ou urina com resíduos de espuma. O seu médico decidirá se deve interromper a sua perfusão de Pombiliti e dar-lhe-á tratamento médico apropriado. O seu médico irá igualmente decidir se pode continuar a receber Pombiliti.

Medicação pré-tratamento
O seu médico pode dar-lhe outros medicamentos antes do Pombiliti. Estes medicamentos incluem:
- anti-histamínicos e corticosteroides para prevenir ou ajudar a reduzir as reações relacionadas com a perfusão.
- antipiréticos para reduzir a febre.

Crianças e adolescentes
Este medicamento não deve ser administrado a doentes com menos de 18 anos de idade. Isto porque os efeitos de Pombiliti em conjunto com miglustat neste grupo etário são desconhecidos.

Outros medicamentos e Pombiliti
Informe o seu médico ou enfermeiro se estiver a utilizar, tiver utilizado recentemente ou se vier a utilizar outros medicamentos. Isto inclui quaisquer medicamentos obtidos sem prescrição médica, como vitaminas ou produtos de ervanária.

Gravidez e amamentação
Se está grávida ou a amamentar, pensa estar grávida ou planeia engravidar, consulte o seu médico ou farmacêutico imediatamente antes de tomar este medicamento.

Não há experiência com a utilização de Pombiliti em combinação com miglustat durante a gravidez.
- Não deve receber Pombiliti e/ou tomar cápsulas miglustat 65 mg se estiver grávida. Certifique-se de que informa imediatamente o seu médico se engravidar, pensar que pode estar grávida ou se estiver a planear engravidar. Não pode haver riscos para o feto.
- Pombiliti em combinação com miglustat não deve ser administrado a mulheres a amamentar. Tem de ser tomada uma decisão sobre a descontinuação da amamentação ou a descontinuação/abstenção da terapêutica.

Contraceção e fertilidade
As pacientes femininas com potencial de parto devem utilizar métodos fiáveis de controlo da natalidade durante e durante 4 semanas após a paragem de ambos os medicamentos.

Condução de veículos e utilização de máquinas
Pode sentir tonturas, sonolência ou ter pressão arterial baixa (hipotensão) depois de tomar Pombiliti ou medicamentos antes do tratamento. Se isto acontecer, não conduza nem utilize quaisquer ferramentas ou máquinas.

Pombiliti contém sódio
Este medicamento contém 10,5 mg de sódio (principal componente do sal de cozinha/mesa) em cada frasco para injetáveis. Isto é equivalente a 0,52% da ingestão diária máxima de sódio recomendada na dieta para um adulto.

3. Como Pombiliti é administrado

Pombiliti é-lhe administrado por um médico ou enfermeiro. É administrado de forma gota a gota numa veia. Esta forma de administração designada perfusão por via intravenosa.

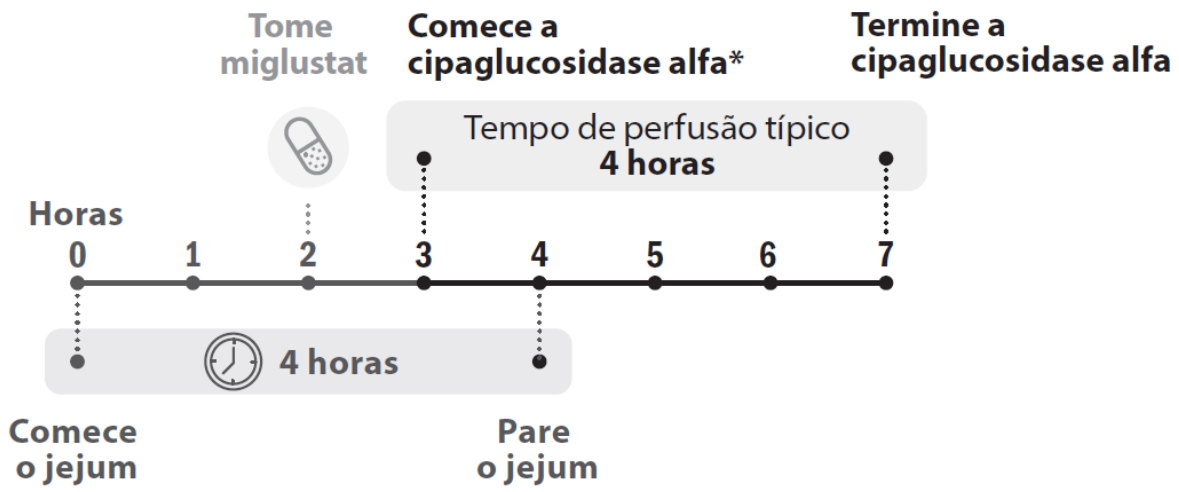
Fale com o seu médico se quiser ser tratado em casa. O seu médico irá decidir, após avaliação, se é seguro receber a perfusão de Pombiliti em casa. Se tiver quaisquer efeitos indesejáveis durante uma perfusão de Pombiliti, o membro do pessoal da perfusão da sua casa pode interromper a perfusão e iniciar o tratamento médico adequado.

Pombiliti deve ser utilizado em conjunto com miglustat. Pode apenas utilizar miglustat 65 mg cápsulas com cipaglucosidase alfa. **NÃO** utilize miglustat 100 mg cápsulas (medicamento diferente). Siga as instruções do seu médico e leia o folheto informativo de miglustat 65 mg cápsulas, para saber qual a dose recomendada.

Quantidade de Pombiliti a administrar
A quantidade de medicamento que irá receber é baseada no seu peso. A dose recomendada é de 20 mg por cada quilograma de peso corporal.

Quando e durante quanto tempo é administrado Pombiliti
- Irá ser tratado com Pombiliti uma vez a cada duas semanas. Miglustat 65 mg cápsulas é tomado no mesmo dia que o Pombiliti. Consulte o folheto informativo de miglustat 65 mg cápsulas para informação sobre como tomar miglustat.
- Cipaglucosidase alfa perfusão deve ter início 1 hora depois de tomar miglustat 65 mg cápsulas.
  - Em caso de atraso, o início da perfusão não deve exceder 3 horas desde a toma de miglustat.
- A perfusão de cipaglucosidase alfa tem a duração aproximada de 4 horas.

Figura 1. Dose – cronograma



* A perfusão de cipaglucosidase alfa deverá ter início 1 hora após a toma das cápsulas de miglustat. Em caso de atraso da perfusão, o início da perfusão não deverá exceder 3 horas após a toma de miglustat.

Mudar de outra terapêutica de substituição enzimática (TSE)
Se estiver atualmente a ser tratado com outra TSE:
- O seu médico irá dizer-lhe quando parar a outra TSE antes de iniciar Pombiliti.
- Informe o seu médico quando concluiu a sua última dose.

Se lhe for administrado mais Pombiliti do que deveria
Se tiver dificuldade em respirar, sensação de inchaço ou tumefação, ou se tiver o coração acelerado, poderá ter sido administrado demasiado Pombiliti; informe o seu médico imediatamente. Taxa excessiva de perfusão de Pombiliti pode resultar em sintomas relacionados com demasiado líquido no corpo, tais como falta de ar, frequência cardíaca rápida ou inchaço generalizado do corpo.

Se não tomar a sua dose de Pombiliti
Se tiver falhado uma perfusão, contacte o seu médico ou enfermeiro assim que possível para remarcar Pombiliti em combinação com miglustat 24 horas após a última toma de miglustat.

Se parar de receber Pombiliti
Fale com o seu médico se quiser parar o tratamento com Pombiliti. Os sintomas da sua doença podem agravar-se se interromper o tratamento.

4. Efeitos indesejáveis possíveis

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

Pombiliti é utilizado com miglustat e os efeitos indesejáveis podem ocorrer com qualquer destes medicamentos. Os efeitos indesejáveis observaram-se sobretudo enquanto os doentes estavam a ser infundidos com Pombiliti (efeitos relacionados com a perfusão) ou pouco depois. Tem de informar imediatamente o seu médico se tiver uma reação relacionada com a perfusão ou uma reação alérgica. Algumas destas reações podem tornar-se graves e fatais. O seu médico pode dar-lhe medicamentos antes da sua perfusão para evitar essas reações.

Reações relacionadas com a perfusão
A maioria das reações relacionadas com a perfusão são ligeiras ou moderadas. Os sintomas de uma reação relacionada com a perfusão podem incluir dificuldade em respirar, inchaço, febre, arrepios, tonturas, vermelhidão, comichão na pele e erupção na pele.

Reações alérgicas
As reações alérgicas podem incluir sintomas como erupção na pele em qualquer parte do corpo, papos nos olhos, dificuldade prolongada em respirar, tosse, inchaço dos lábios, língua ou garganta, comichão na pele e urticária.

Muito frequentes (podem afetar mais de 1 em 10 pessoas)
- Cefaleia

Frequentes (podem afetar até 1 em 10 pessoas)
- Tosse
- Rubor súbito do rosto, pescoço ou parte superior do peito
- Dor no peito
- Erupção na pele, comichão
- Aumento da pressão arterial
- Suores
- Distensão abdominal
- Gases abdominais
- Fezes moles, diarreia
- Vómitos
- Náuseas
- Febre ou calafrios
- Urticária
- Inchaço ou dor na zona do corpo onde a agulha foi inserida
- Cãibras musculares, dores musculares, fraqueza muscular
- Tremuras involuntárias de uma ou mais partes do corpo
- Aumento da transpiração
- Dor
- Alteração do paladar
- Sentir-se constantemente cansado ou sensação de sonolência
- Falta de ar

Pouco frequentes (pode afetar até 1 em 100 pessoas)
- Respiração difícil que desencadeia tosse, som de assobio (pieira) ao expirar e falta de ar (asma)
- Reação alérgica
- Inchaço nas mãos, pés, tornozelos, pernas
- Inchaço da pele
- Indigestão
- Dor de barriga
- Sensação de cansaço constante
- Dor de garganta ou garganta irritada
- Dor e contrações anormais da garganta
- Irritação na boca
- Dor na boca ou desconforto na parte de trás da boca
- Dor na bochecha, gengivas, lábios, queixo
- Perda de força e energia, sensação de fraqueza
- Sensação de instabilidade, sensação de lentidão geral
- Sensação de ardor
- Irritação ou danos na pele
- Alterações na temperatura corporal
- Diminuição de um tipo de glóbulos brancos – indicado nas análises
- Sensação de sonolência
- Sensação de tonturas
- Dor nas articulações
- Dor na área entre a anca e a costela

- Fadiga muscular
- Aumento da rigidez muscular
- Perda de equilíbrio
- Pressão arterial baixa
- Sensação de desmaio
- Dor em um ou ambos os lados da cabeça, dor latejante, aura, dor ocular, sensibilidade à luz (enxaqueca)
- Descoloração da pele

Comunicação de efeitos indesejáveis
Se tiver quaisquer efeitos indesejáveis, incluindo possíveis efeitos indesejáveis não indicados neste folheto, fale com o seu médico, farmacêutico ou enfermeiro. Também poderá comunicar efeitos indesejáveis diretamente através do sistema nacional de notificação mencionado no Apêndice V. Ao comunicar efeitos indesejáveis, estará a ajudar a fornecer mais informações sobre a segurança deste medicamento.

5. Como conservar Pombiliti

O seu médico, farmacêutico ou enfermeiro é responsável pelo armazenamento deste medicamento e por eliminar corretamente os frascos para injetáveis abertos. A informação que se segue destina-se aos profissionais de saúde.

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

Não utilize este medicamento após o prazo de validade impresso no frasco e embalagem após "VAL". O prazo de validade corresponde ao último dia do mês indicado.

Frascos para injetáveis por abrir: Conservar no frigorífico (2 °C - 8 °C). Manter o frasco para injetáveis na embalagem exterior para proteger da luz.

Após a diluição, recomenda-se a utilização imediata. No entanto, o armazenamento do saco intravenoso com Pombiliti foi demonstrado durante 6 horas a 20 °C - 25 °C e 24 horas a 2 °C - 8 °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

O que Pombiliti contém
A substância ativa é "cipaglucosidase alfa". Um frasco para injetáveis contém 105 mg de cipaglucosidase alfa. Após a reconstituição, a solução no frasco para injetáveis contém 15 mg de cipaglucosidase alfa por ml. A concentração final recomendada de cipaglucosidase alfa diluída dentro do saco intravenoso varia entre 0,5 mg/ml e 4 mg/ml.

Os outros componentes são:
- Citrato de sódio dihidratado (E 331)
- Ácido cítrico monoidratado (E 330)
- Manitol (E 421)
- Polissorbato 80 (E 433)

Qual o aspeto de Pombiliti e conteúdo da embalagem

Pombiliti é um pó branco a ligeiramente amarelado. Após a reconstituição, aparece como uma solução clara a opalescente, incolor a ligeiramente amarela, sem partículas estranhas, praticamente livre de partículas brancas a translúcidas. A solução reconstituída tem de ser mais diluída para dentro de um saco intravenoso para perfusão.

Pombiliti é um pó para concentrado para solução para perfusão num frasco para injetáveis

Embalagens de 1 frasco para injetáveis, 10 frascos para injetáveis ou 25 frascos para injetáveis

É possível que não sejam comercializadas todas as apresentações.

Titular da Autorização de Introdução no Mercado

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

Fabricante
Manufacturing Packaging Farmaca (MPF) B.V.
Neptunus 12, Heerenveen, 8448CN, Países Baixos

Para quaisquer informações sobre este medicamento, queira contactar o representante local do Titular da Autorização de Introdução no Mercado:

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

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

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

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

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

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

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

Malta
Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel: (+356) 800 62674
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

Irlanda
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

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

Latvija
Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel: (+371) 800 05391
e-pasts: 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

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

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

Este folheto foi revisto pela última vez em