

Folheto informativo: Informação para o doente

Xenpozyme 20 mg pó para concentrado para solução para perfusão olipudase 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 começar a utilizar 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 ou enfermeiro.
- Se tiver quaisquer efeitos indesejáveis, incluindo possíveis efeitos indesejáveis não indicados neste folheto, fale com o seu médico ou enfermeiro. Ver secção 4.

O que contém este folheto:

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

1. O que é Xenpozyme e para que é utilizado

O que é Xenpozyme

Xenpozyme contém uma enzima chamada olipudase alfa.

Para que é utilizado o Xenpozyme

Xenpozyme é utilizado para tratar uma doença hereditária chamada deficiência da esfingomielinase ácida (ASMD). É utilizado em crianças e adultos com ASMD tipos A/B ou B para tratar os sinais e sintomas de ASMD não relacionados com o cérebro.

Como funciona Xenpozyme

Os doentes com ASMD carecem de uma versão funcional adequada da enzima esfingomielinase ácida. Isto resulta na acumulação de uma substância chamada esfingomielina, que danifica órgãos como o baço, o fígado, o coração, os pulmões e o sangue. A olipudase alfa atua da mesma forma que a enzima natural, assim, funciona como um substituto, reduzindo a acumulação de esfingomielina nos órgãos e tratando os sinais e sintomas.

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

Não lhe deve ser administrado Xenpozyme

Se teve reações alérgicas (anafiláticas) potencialmente fatais à olipudase alfa (ver secção 'Advertências e precauções' abaixo) ou a qualquer outro componente deste medicamento (indicado na secção 6).

Advertências e precauções

Pode ter efeitos indesejáveis chamados reações associadas à perfusão (RAP) que podem ser causados pela perfusão (gotejamento) do medicamento. Podem ocorrer enquanto estiver a receber Xenpozyme ou no período de 24 horas após a perfusão.

Podem incluir reações alérgicas (ver secção 4) e sintomas como dor de cabeça, uma erupção saliente e que provoca comichão (urticária), febre, náuseas, vômitos e comichão na pele.

Se acha que está a ter uma RAP, **informe o seu médico imediatamente.**

Se tiver uma reação alérgica grave durante a perfusão, o seu médico irá interromper a perfusão e fornecer o tratamento médico adequado. O seu médico irá avaliar os riscos e benefícios de lhe administrar mais doses de Xenpozyme.

Se tiver uma RAP ligeira ou moderada, o seu médico ou enfermeiro pode interromper temporariamente a perfusão, diminuir a taxa de perfusão e/ou reduzir a dose.

O seu médico também pode dar-lhe (ou ter-lhe dado) outros medicamentos para prevenir ou gerir reações alérgicas.

O seu médico irá pedir-lhe análises ao sangue para verificar quão bem o seu fígado está a funcionar (determinando os níveis das suas enzimas hepáticas) antes de iniciar o tratamento e, em seguida, em intervalos regulares à medida que as doses são ajustadas (ver secção 3).

Outros medicamentos e Xenpozyme

Informe o seu médico ou enfermeiro se estiver a utilizar, tiver utilizado recentemente, ou se vier a utilizar outros medicamentos.

Gravidez e amamentação

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

Não existe experiência com a utilização de Xenpozyme em mulheres grávidas. Quando utilizado durante a gravidez, Xenpozyme pode ser prejudicial para o feto. Xenpozyme apenas deve ser utilizado durante a gravidez se for estritamente necessário. As mulheres com potencial para engravidar devem usar contraceção enquanto utilizam Xenpozyme.

Desconhece-se se Xenpozyme passa para o leite materno. Informe o seu médico se está a amamentar ou se planeia fazê-lo. O seu médico irá então ajudá-lo a decidir se deve parar de amamentar ou se deve parar de tomar Xenpozyme, considerando o benefício de amamentar o bebé e o benefício de Xenpozyme para a mãe.

Condução de veículos e utilização de máquinas

Xenpozyme pode ter efeitos menores sobre a capacidade de conduzir e utilizar máquinas, pois pode sentir tensão arterial baixa (o que pode fazer com que se sinta a perder os sentidos).

Xenpozyme contém sódio

Este medicamento contém 3,02 mg de sódio (principal componente de sal de cozinha/sal de mesa) em cada frasco para injetáveis. Isto é equivalente a 0,15% da ingestão diária máxima de sódio recomendada na dieta para um adulto ou um adolescente e a $\leq 0,38\%$ da ingestão diária máxima aceitável de sódio recomendada para crianças com menos de 16 anos de idade.

3. Como é administrado Xenpozyme

Xenpozyme ser-lhe-á administrado por gotejamento (perfusão) sob a supervisão de um profissional de saúde com experiência no tratamento de ASMD ou outras doenças metabólicas.

A dose que recebe baseia-se no seu peso corporal e ser-lhe-á administrada a cada duas semanas.

O tratamento começa com uma dose baixa do medicamento, que é aumentada gradualmente.

A perfusão dura normalmente cerca de 3 a 4 horas; mas pode ser menor ou maior com base no parecer do seu médico, e pode ser menor durante o período enquanto a sua dose está a ser aumentada.

Doentes adultos

A dose inicial recomendada de Xenpozyme é de 0,1 mg por cada kg de peso corporal. Esta é aumentada de forma planeada com cada dose subsequente, até ser alcançada a dose recomendada de 3 mg por cada kg de peso corporal a cada 2 semanas. Normalmente, demora até 14 semanas a atingir a dose recomendada, mas pode ser mais longo com base no parecer do seu médico.

Crianças

A dose inicial recomendada de Xenpozyme é de 0,03 mg para cada kg de peso corporal. As doses subsequentes devem ser aumentadas de forma planeada até à dose recomendada de 3 mg por cada kg de peso corporal a cada 2 semanas. Normalmente, demora até 16 semanas a atingir a dose recomendada, mas pode ser mais longo com base no parecer do seu médico.

Perfusão em casa

O seu médico pode considerar a perfusão em casa de Xenpozyme se estiver a tomar uma dose estável e tolerar bem as suas perfusões. Esta decisão de passar para a perfusão em casa deve ser tomada após avaliação e recomendação do seu médico. Se tiver um efeito indesejável durante uma perfusão de Xenpozyme, a pessoa que administra a sua perfusão em casa pode interromper a perfusão e iniciar o tratamento médico adequado.

Instruções para utilização adequada

Xenpozyme é administrado por perfusão intravenosa (gotejamento para uma veia). É fornecido como um pó que será misturado com água estéril antes de ser administrado.

Se for administrado mais Xenpozyme do que deveria

Informe o seu médico imediatamente se suspeitar de uma alteração da sua perfusão habitual. Uma vez que Xenpozyme será administrado por um profissional de saúde, não é provável uma sobredosagem.

Se falhar uma perfusão de Xenpozyme

É importante que faça a perfusão a cada 2 semanas. Uma perfusão é considerada em falha se não for administrada no prazo de 3 dias após a perfusão programada. Dependendo do número de doses em falta, o seu médico poderá ter de reiniciar desde a dose mais baixa.

Se falhar uma perfusão ou não puder comparecer a uma consulta agendada, contacte o seu médico imediatamente.

Caso ainda tenha dúvidas sobre a utilização deste medicamento, fale com o seu médico ou enfermeiro.

4. Efeitos indesejáveis possíveis

Como todos os medicamentos, este medicamento pode causar efeitos indesejáveis, embora estes não se manifestem em todas as pessoas. As reações associadas com a perfusão (RAP) têm sido observadas enquanto os doentes estavam a receber o medicamento ou no período de 24 horas após a perfusão.

Os efeitos indesejáveis mais graves podem incluir reações alérgicas graves súbitas, uma erupção saliente e que provoca comichão (urticária), erupção na pele, aumento das enzimas hepáticas e batimento cardíaco irregular.

Tem de informar o seu médico imediatamente se tiver uma RAP ou uma reação alérgica.

Se tiver uma reação à perfusão, podem ser-lhe administrados medicamentos adicionais para tratar ou ajudar a prevenir reações futuras. Se a reação à perfusão for grave, o seu médico pode interromper a perfusão de Xenpozyme e começar a administrar o tratamento médico adequado.

Muito frequentes (podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas):

- dores de cabeça
- febre – temperatura corporal aumentada
- erupção saliente e que provoca comichão (urticária)
- náuseas
- vômitos
- dor abdominal (de barriga)
- dores musculares
- comichão na pele
- análise de sangue aumentada para inflamação

Frequentes (podem afetar até 1 em cada 10 pessoas):

- erupção da pele (diferentes tipos de erupção da pele, por vezes com comichão)
- dor na parte superior da barriga
- fadiga
- análise de sangue anormal para função hepática
- diarreia
- vermelhidão da pele
- dor nas articulações
- dor nas costas
- arrepios
- dificuldade em respirar
- mal-estar abdominal
- dor nos ossos
- dor
- tensão arterial baixa
- batimento cardíaco forte que pode ser rápido ou irregular
- batimento cardíaco acelerado
- dor hepática
- reações alérgicas graves
- sensação de calor
- irritação da garganta e da laringe
- sensação de aperto da garganta e inchaço
- pieira
- lesões da pele (tais como lesões sólidas elevadas ou lesões vermelhas lisas)
- inchaço rápido sob a pele em áreas como o rosto, garganta, braços e pernas, o que pode ser potencialmente fatal se o inchaço da garganta bloquear as vias respiratórias
- dor de estômago
- olhos vermelhos ou com comichão
- desconforto nos olhos
- fraqueza
- análise de sangue anormal para inflamação
- reações relacionadas com o local do cateter, incluindo dor, comichão ou inchaço

Comunicação de efeitos indesejáveis

Se tiver quaisquer efeitos indesejáveis, incluindo possíveis efeitos indesejáveis não indicados neste folheto, fale com o seu médico 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 Xenpozyme

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

Não utilizar Xenpozyme após o prazo de validade impresso no rótulo e na embalagem exterior. O prazo de validade corresponde ao último dia do mês indicado.

Conservar no frigorífico entre 2°C a 8°C.

Após diluição, recomenda-se a utilização imediata.

Se não for utilizada imediatamente, a solução reconstituída pode ser armazenada até 24 horas a 2°C a 8°C ou até 12 horas à temperatura ambiente (até 25 °C).

Após a diluição, a solução pode ser armazenada até 24 horas a 2–8°C, seguido de 12 horas (incluindo o tempo de perfusão) à temperatura ambiente.

Não deite fora quaisquer medicamentos na canalização ou no lixo doméstico. Pergunte ao seu médico ou enfermeiro 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 Xenpozyme

- A substância ativa é a olipudase alfa. Cada frasco para injetáveis contém 20 mg de olipudase alfa.
 - Os outros componentes são
 - L-metionina
 - Fosfato de sódio dibásico, heptahidratado
 - Fosfato de sódio monobásico, monohidratado
 - Sacarose
- ver secção 2 Xenpozyme contém sódio

Qual o aspeto de Xenpozyme e conteúdo da embalagem

Xenpozyme é um pó para concentrado para solução para perfusão num frasco para injetáveis (20 mg/frasco para injetáveis).

O pó é um pó liofilizado branco a esbranquiçado.

Após misturar com água estéril, é uma solução transparente e incolor. A solução tem de ser adicionalmente diluída antes da perfusão.

Titular da Autorização de Introdução no Mercado

Genzyme Europe B.V., Paasheuvelweg 25, 1105 BP Amsterdam, Países Baixos

Fabricante

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

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

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 AEBE
Τηλ: +30 210 900 16 00

España

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

France

sanofi-aventis france
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

Genzyme Europe 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

Este folheto foi revisto pela última vez em

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.>

Este folheto está disponível em todas as línguas da UE/EEE no sítio da internet da Agência Europeia de Medicamentos e no website: www.xenpozyme.info.sanofi, ou lendo o código QR abaixo (também incluído na embalagem exterior) com um smartphone.

<identificação para código QR>

<----->

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

Preparação da solução de dosagem

O pó para concentrado para solução para perfusão tem de ser reconstituído com água estéril para injeção, diluído com solução injetável de cloreto de sódio a 9 mg/ml (0,9%) e, em seguida, administrado por perfusão intravenosa.

Os passos de reconstituição e diluição têm de ser realizados em condições assépticas. Os dispositivos de filtração não devem ser utilizados em nenhum momento durante a preparação da solução de perfusão. Evite a formação de espuma durante os passos de reconstituição e diluição.

- 1) Determine o número de frascos para injetáveis a serem reconstituídos com base no peso individual do doente e na dose prescrita.
 $\text{Peso do doente (kg)} \times \text{dose (mg/kg)} = \text{dose do doente (em mg)}$. Dose do doente (em mg) dividida por 20 mg/frasco para injetáveis = número de frascos para injetáveis a reconstituir. Se o número de frascos para injetáveis incluir uma fração, arredondar para o número inteiro seguinte.
- 2) Retire o número necessário de frascos para injetáveis da refrigeração e reserve durante aproximadamente 20 a 30 minutos para permitir que atinjam a temperatura ambiente.
- 3) Reconstitua cada frasco injetando 5,1 ml de água estéril para injeção no frasco utilizando uma técnica de adição lenta e gota a gota na parede interior do frasco.
- 4) Incline e rode cada frasco para injetáveis com cuidado. Cada frasco para injetáveis produzirá uma solução límpida e incolor de 4 mg/ml.
- 5) Inspeccione visualmente a solução reconstituída nos frascos para injetáveis quanto à presença de partículas e descoloração. A solução de Xenpozyme deve ser límpida e incolor. Não devem ser utilizados frascos para injetáveis que apresentem partículas opacas ou descoloração.
- 6) Retirar o volume da solução reconstituída, correspondente à dose prescrita, do número apropriado de frascos para injetáveis e diluir com solução injetável de cloreto de sódio a 9 mg/ml (0,9%), numa seringa ou saco de perfusão, dependendo do volume de perfusão (ver Tabela 1 para o volume de perfusão total recomendado com base na idade e/ou peso do doente).