

<p>Gebrauchsinformation: Information für Patienten</p>
<p>Pombiliti® 105 mg Pulver für ein Konzentrat zur Herstellung einer Infusionslösung Cipaglucosidase alfa</p>
<p>▼ Dieses Arzneimittel unterliegt einer zusätzlichen Überwachung. Dies ermöglicht eine schnelle Identifizierung neuer Erkenntnisse über die Sicherheit. Sie können dabei helfen, indem Sie jede auftretende Nebenwirkung melden. Hinweise zur Meldung von Nebenwirkungen, siehe Ende Abschnitt 4.</p>

<p>Lesen Sie die gesamte Packungsbeilage sorgfältig durch, bevor Sie dieses Arzneimittel erhalten, denn sie enthält wichtige Informationen.</p> <ul style="list-style-type: none">Heben Sie die Packungsbeilage auf. Vielleicht möchten Sie diese später nochmals lesen. Wenn Sie weitere Fragen haben, wenden Sie sich an Ihren Arzt, Apotheker oder das medizinische Fachpersonal. Wenn Sie Nebenwirkungen bemerken, wenden Sie sich an Ihren Arzt, Apotheker oder das medizinische Fachpersonal. Dies gilt auch für Nebenwirkungen, die nicht in dieser Packungsbeilage angegeben sind. Siehe Abschnitt 4.
--

<p>Was in dieser Packungsbeilage steht</p> <ol style="list-style-type: none">Was ist Pombiliti und wofür wird es angewendet? Was sollten Sie vor dem Erhalt von Pombiliti beachten? Wie wird Pombiliti verabreicht? Welche Nebenwirkungen sind möglich? Wie ist Pombiliti aufzubewahren? Inhalt der Packung und weitere Informationen

<p>1. Was ist Pombiliti und wofür wird es angewendet?</p>
--

Was ist Pombiliti?
Pombiliti ist eine Enzyersatztherapie (ERT), die bei Erwachsenen zur Behandlung von Morbus Pompe der späten Verlaufsform angewendet wird. Es enthält den Wirkstoff Cipaglucosidase alfa.

Wofür wird es angewendet?
Pombiliti wird immer zusammen mit einem anderen Arzneimittel mit der Bezeichnung Miglustat 65 mg Hartkapseln angewendet. Es ist sehr wichtig, dass Sie auch die Gebrauchsinformation von Miglustat 65 mg Hartkapseln lesen.

Wenn Sie Fragen zu Ihren Arzneimitteln haben, wenden Sie sich bitte an Ihren Arzt oder Apotheker.

Wie Pombiliti wirkt
Menschen mit Morbus Pompe haben zu wenig von dem Enzym saure alpha-Glucosidase (GAA). Dieses Enzym ist an der Regulierung der Menge an Glykogen (eine Art von Kohlenhydraten) im Körper beteiligt.

Bei Morbus Pompe sammeln sich in der Körpermuskulatur große Glykogenmengen an. Dadurch können Muskeln, z. B. die Muskeln, die Sie zum Gehen brauchen, die Muskeln unter der Lunge, die Sie zum Atmen brauchen, und der Herzmuskel, nicht mehr richtig arbeiten.

Pombiliti wirkt in die Muskelzellen, die von Morbus Pompe betroffen sind. In den Zellen wirkt das Arzneimittel wie GAA, es unterstützt den Abbau von Glykogen und die Regulierung der Glykogenmengen.

<p>2. Was sollten Sie vor dem Erhalt von Pombiliti beachten?</p>
<p>Sie dürfen Pombiliti nicht erhalten</p>
<ul style="list-style-type: none">Wenn Sie jemals lebensbedrohliche Überempfindlichkeitsreaktionen hatten auf: <ul style="list-style-type: none">Cipaglucosidase alfa Miglustat einen der in Abschnitt 6. genannten sonstigen Bestandteile dieses Arzneimittels. Wenn eine frühere Infusion abgebrochen werden musste und aufgrund von lebensbedrohlichen Überempfindlichkeitsreaktionen nicht wieder aufgenommen werden konnte.

Warnhinweise und Vorsichtsmaßnahmen
Sprechen Sie mit Ihrem Arzt, Apotheker oder dem medizinischen Fachpersonal, bevor Sie Pombiliti anwenden.

Sprechen Sie sofort mit einem Arzt oder dem medizinischen Fachpersonal, wenn diese auf Sie zutreffen, wenn Sie vermuten, dass diese auf Sie zutreffen könnten, oder wenn Sie jemals solche Reaktionen bei einer anderen Enzyersatztherapie (ERT) hatten:

- allergische Reaktionen einschließlich Anaphylaxie (eine schwere allergische Reaktion) – Symptome lebensbedrohlicher Reaktionen siehe Abschnitt 4 unten unter ‘Welche Nebenwirkungen sind möglich?’
- infusionsassoziierte Reaktion während der Gabe des Medikaments oder in den Stunden danach – Symptome lebensbedrohlicher Reaktionen siehe Abschnitt 4 unten unter ‘Welche Nebenwirkungen sind möglich?’

Informieren Sie Ihren Arzt, wenn es bei Ihnen in der Vorgeschichte zu einer Herz- oder Lungenerkrankung gekommen ist. Diese Erkrankungen können sich während oder unmittelbar nach der Pombiliti-Infusion verschlechtern. Geben Sie einem Arzt oder dem Pflegepersonal unverzüglich Bescheid, wenn es bei Ihnen zu Kurzatmigkeit, Husten, raschem oder unregelmäßigem Herzschlag oder anderen Symptomen dieser Erkrankungen kommt.

Teilen Sie Ihrem Arzt auch mit, wenn bei Ihnen eine Schwellung der Beine oder eine ausgedehnte Schwellung des Körpers, ein schwerer Hautausschlag oder schaumiger Urin beim Wasserlassen auftritt. Ihr Arzt wird entscheiden, ob die Pombiliti-Infusion beendet wird, und Sie angemessen medizinisch behandeln. Er wird auch entscheiden, ob Sie Pombiliti weiter erhalten können.

Arzneimittel für die Vorbehandlung
Ihr Arzt kann Ihnen andere Arzneimittel geben, bevor Sie Pombiliti erhalten. Zu diesen Arzneimitteln gehören:

- Antihistaminika und Kortikosteroide zur Vermeidung oder Verringerung infusionsbezogener Reaktionen.
- Fiebersenkende Mittel.

Kinder und Jugendliche
Dieses Arzneimittel darf nicht an Patienten unter 18 Jahren verabreicht werden. Der Grund dafür ist, dass die Wirkungen von Pombiliti in Verbindung mit Miglustat in dieser Altersgruppe nicht bekannt sind.

Anwendung von Pombiliti zusammen mit anderen Arzneimitteln
Informieren Sie einen Arzt oder das medizinische Fachpersonal, wenn Sie andere Arzneimittel anwenden, kürzlich andere Arzneimittel angewendet haben oder beabsichtigen, andere Arzneimittel anzuwenden. Dies gilt auch für rezeptfreie und pflanzliche Arzneimittel.

Schwangerschaft und Stillzeit
Wenn Sie schwanger sind oder stillen, oder wenn Sie vermuten, schwanger zu sein, oder beabsichtigen, schwanger zu werden, wenden Sie dieses Arzneimittel nicht an, sondern fragen Sie vor der Anwendung dieses Arzneimittels sofort Ihren Arzt oder Apotheker um Rat.

Es liegen keine Erfahrungen mit der Anwendung von Pombiliti in Kombination mit Miglustat während der Schwangerschaft vor.

- Sie dürfen Pombiliti nicht erhalten und/oder Miglustat 65 mg Hartkapseln einnehmen, wenn Sie schwanger sind. Sprechen Sie unbedingt sofort mit Ihrem Arzt, wenn Sie schwanger werden, vermuten, schwanger zu sein, oder beabsichtigen, schwanger zu werden. Es können Risiken für das ungeborene Kind bestehen.
- Pombiliti in Kombination mit Miglustat darf nicht an stillende Frauen verabreicht werden. Es muss entschieden werden, ob die Behandlung oder das Stillen abgebrochen werden soll.

Empfängnisverhütung und Fertilität
Patientinnen im gebärfähigen Alter müssen während und für 4 Wochen nach Absetzen beider Arzneimittel zuverlässige Verhütungsmethoden anwenden.

Verkehrstüchtigkeit und Fähigkeit zum Bedienen von Maschinen
Sie können sich nach dem Erhalt von Pombiliti oder Vorbehandlung schwindelig oder schläfrig fühlen oder niedrigen Blutdruck (Hypotonie) haben. Wenn dies der Fall ist, dürfen Sie kein Fahrzeug lenken und keine Werkzeuge oder Maschinen bedienen.

Pombiliti enthält Natrium
Dieses Arzneimittel enthält 10,5 mg Natrium (Hauptbestandteil von Kochsalz/Speisesalz) pro Durchstechflasche, entsprechend 0,52 % der für einen Erwachsenen empfohlenen maximalen täglichen Natriumaufnahme mit der Nahrung.

<p>3. Wie wird Pombiliti verabreicht?</p>
<p>Pombiliti wird Ihnen von einem Arzt oder medizinischem Fachpersonal verabreicht. Es wird durch eine Tropfinfusion in eine Vene verabreicht. Dies wird als intravenöse Infusion bezeichnet.</p>

Sprechen Sie mit Ihrem Arzt, wenn Sie eine Behandlung zu Hause wünschen. Ihr Arzt wird nach einer Überprüfung entscheiden, ob die Pombiliti-Infusion zu Hause für Sie sicher ist. Wenn bei Ihnen während einer Infusion von Pombiliti Nebenwirkungen auftreten, kann das Fachpersonal für die Heiminfusion die Infusion unterbrechen und eine angemessene medizinische Behandlung einleiten.

Pombiliti wird zusammen mit Miglustat angewendet. Sie können nur Miglustat 65 mg Kapseln mit Cipaglucosidase alfa anwenden. Miglustat 100 mg Kapseln (anderes Produkt) dürfen **NICHT** angewendet werden. Befolgen Sie die Anweisungen Ihres Arztes und entnehmen Sie die empfohlene Dosis der Packungsbeilage von Miglustat 65 mg Hartkapseln.

Wie viel Pombiliti erhalten Sie?
Wie viel Sie von dem Arzneimittel erhalten, hängt von Ihrem Körpergewicht ab. Die empfohlene Dosis beträgt 20 mg pro Kilogramm Körpergewicht.

Wann und wie lange wird Pombiliti verabreicht?

- Sie werden Pombiliti einmal alle zwei Wochen erhalten. Miglustat 65 mg Kapseln werden am Tag der Verabreichung von Pombiliti eingenommen. Wie Sie Miglustat einnehmen, entnehmen Sie der Packungsbeilage von Miglustat 65 mg Hartkapseln.
- Die Cipaglucosidase alfa-Infusion beginnt 1 Stunde nach der Einnahme von Miglustat 65 mg Hartkapseln.
 - Kommt es zu einer Verzögerung, darf der Beginn der Infusion nicht mehr als 3 Stunden nach der Einnahme von Miglustat liegen.
- Die Infusion von Cipaglucosidase alfa dauert etwa 4 Stunden.

<p>Abbildung 1. Verabreichungszeitplan</p>
<p>* Die Cipaglucosidase alfa-Infusion beginnt 1 Stunde nach der Einnahme der Miglustat-Kapseln. Kommt es bei der Infusion zu einer Verzögerung, darf der Beginn der Infusion nicht mehr als 3 Stunden nach der Einnahme von Miglustat liegen.</p>

<p>Umstellung von einer anderen Enzyersatztherapie (ERT)</p> <p>Wenn Sie derzeit eine andere ERT erhalten:</p> <ul style="list-style-type: none">Ihr Arzt wird Ihnen sagen, wann Sie die andere ERT absetzen müssen, bevor Sie mit Pombiliti beginnen. Teilen Sie Ihrem Arzt mit, wann Sie Ihre letzte Dosis erhalten haben.
--

Wenn Sie eine größere Menge von Pombiliti angewendet haben, als Sie sollten
Wenn Sie Atembeschwerden haben, sich angeschwollen oder aufgebläht fühlen oder Ihr Herz rast, haben Sie möglicherweise zu viel Pombiliti erhalten, **informieren Sie sofort Ihren Arzt.** Eine zu schnelle Infusion von Pombiliti kann zu Symptomen führen, die auf ein Übermaß an Flüssigkeit im Körper zurückgehen, wie z. B. Kurzatmigkeit, schneller Herzschlag oder ausgedehnte Schwellungen des Körpers.

Wenn Sie die Anwendung von Pombiliti versäumt haben
Wenn Sie eine Infusion versäumt haben, kontaktieren Sie bitte so bald wie möglich Ihren Arzt oder das medizinische Fachpersonal, damit Sie Pombiliti in Kombination mit Miglustat 24 Stunden nach der letzten Einnahme von Miglustat erhalten.

Wenn Sie die Anwendung von Pombiliti abbrechen
Sprechen Sie mit Ihrem Arzt, wenn Sie die Behandlung mit Pombiliti beenden möchten. Die Symptome Ihrer Krankheit können sich verschlimmern, wenn Sie die Behandlung beenden.

<p>4. Welche Nebenwirkungen sind möglich?</p>
--

Wie alle Arzneimittel kann auch dieses Arzneimittel Nebenwirkungen haben, die aber nicht bei jedem auftreten müssen.

Pombiliti wird zusammen mit Miglustat angewendet, und bei beiden Arzneimitteln können Nebenwirkungen auftreten. Nebenwirkungen traten hauptsächlich während der Infusion von Pombiliti (infusionsbezogene Wirkungen) oder kurz danach auf. Informieren Sie sofort Ihren Arzt, wenn eine infusionsassoziierte Reaktion oder eine allergische Reaktion auftritt. Einige dieser Reaktionen können schwerwiegend und lebensbedrohlich werden. Ihr Arzt kann Ihnen vor Ihrer Infusion Arzneimittel geben, um diese Reaktionen zu verhindern.

Infusionsassoziierte Reaktionen
Die meisten infusionsassoziierten Reaktionen sind leicht oder mittelschwer. Zu den Symptomen von infusionsassoziierten Reaktion

- Brennen
- Kratzer an oder Schädigung der Haut
- Veränderungen der Körpertemperatur
- Abnahme einer Art der weißen Blutkörperchen – in Untersuchungen nachgewiesen
- Benommenheit
- Schwindelgefühl
- Schmerzen in Gelenken
- Schmerzen im Bereich zwischen Hüfte und Rippen
- Muskelermüdung
- Erhöhte Steifigkeit der Muskeln
- Unfähigkeit, das Gleichgewicht zu halten
- Niedriger Blutdruck
- Gefühl der Beinahe-Ohnmacht
- Schmerzen in einer oder beiden Seiten des Kopfes, pochende Schmerzen, Aura, Augenschmerzen, Lichtempfindlichkeit (Migräne)
- Hautverfärbung

gehören Atembeschwerden, Blähungen, Fieber, Schüttelfrost, Schwindelgefühl, Rötung der Haut, juckende Haut und Ausschlag.

Allergische Reaktionen
Bei allergischen Reaktionen können Symptome wie Ausschlag irgendwo am Körper, geschwollene Augen, anhaltende Atembeschwerden, Husten, Schwellung von Lippen, Zunge oder Rachen, juckende Haut und Quaddeln auftreten.

Sehr häufig (kann mehr als 1 von 10 Behandelten betreffen)

- Kopfschmerzen

- Häufig** (kann bis zu 1 von 10 Behandelten betreffen)
 - Husten
 - Plötzliche Rötung von Gesicht, Hals oder oberem Brustkorb
 - Schmerzen in der Brust
 - Hautausschlag, Juckreiz
 - Anstieg des Blutdrucks
 - Schwitzen
 - Blähungen
 - Darmwinde
 - Weicher, wässriger Stuhl
 - Erbrechen
 - Übelkeit
 - Fieber oder Schüttelfrost
 - Quaddeln

- Schwellung oder Schmerzen in jener Körperregion, wo die Nadel eingeführt wurde
- Muskelkrämpfe, Muskelschmerzen, Muskelschwäche
- Unwillkürliches Zittern in einem oder mehreren Körperteilen
- Vermehrtes Schwitzen
- Schmerz
- Veränderter Geschmackssinn
- Ständige Müdigkeit oder Schläfrigkeit
- Kurzatmigkeit

- Gelegentlich** (kann bis zu 1 von 100 Behandelten betreffen)
 - Atembeschwerden, die Husten, ein pfeifendes Geräusch (Giemen) beim Ausatmen und Kurzatmigkeit (Asthma) auslösen
 - Allergische Reaktion
 - Schwellung der Hände, Füße, Knöchel, Beine
 - Schwellung der Haut
 - Verdauungsstörung
 - Bauchschmerzen
 - Ständiges Gefühl von Müdigkeit
 - Entzündeter oder gereizter Rachen
 - Schmerzhafte und abnorme Verkrampfungen des Rachens
 - Reizung im Mund
 - Schmerzen im Mund oder Beschwerden im hinteren Mundbereich
 - Schmerzen in der Wange, an Zahnfleisch, Lippen, Kinn
 - Kraft- und Energieverlust, Schwächegefühl
 - Unbehagen, allgemeines Trägheitsgefühl

- Nicht angebrochene Durchstechflaschen: Im Kühlschranks lagern (2 °C–8 °C). Durchstechflasche im Umkarton aufbewahren, um den Inhalt vor Licht zu schützen.
- Nach der Verdünnung wird eine sofortige Anwendung empfohlen. Bei Lagerung des Infusionsbeutels mit Pombiliti ist jedoch Stabilität für 6 Stunden bei 20 °C–25 °C und 24 Stunden bei 2 °C–8 °C belegt.

Meldung von Nebenwirkungen
Wenn Sie Nebenwirkungen bemerken, wenden Sie sich an Ihren Arzt, Apotheker oder das medizinische Fachpersonal. Dies gilt auch für Nebenwirkungen, die nicht in dieser Packungsbeilage angegeben sind. Sie können Nebenwirkungen auch direkt anzeigen:

Deutschland
Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte
Abt. Pharmakovigilanz
Kurt-Georg-Kiesinger-Allee 3
D-53175 Bonn
Website: <http://www.bfarm.de>

Österreich
Bundesamt für Sicherheit im Gesundheitswesen
Traisengasse 5
1200 WIEN
ÖSTERREICH
Fax: + 43 (0) 50 555 36207
Website: <http://www.basg.gv.at/>

Indem Sie Nebenwirkungen melden, können Sie dazu beitragen, dass mehr Informationen über die Sicherheit dieses Arzneimittels zur Verfügung gestellt werden.

<p>5. Wie ist Pombiliti aufzubewahren?</p>

Ihr Arzt, Apotheker oder das medizinische Fachpersonal ist für die korrekte Aufbewahrung dieses Arzneimittels und Beseitigung von geöffneten Durchstechflaschen verantwortlich. Die folgenden Informationen sind für medizinisches Fachpersonal bestimmt.

Bewahren Sie dieses Arzneimittel für Kinder unzugänglich auf.

Sie dürfen dieses Arzneimittel nach dem auf der Flasche nach „EXP“ und auf dem Umkarton nach „verw.bis“ angegebenen Verfalldatum nicht mehr verwenden. Das Verfalldatum bezieht sich auf den letzten Tag des angegebenen Monats.

Nicht angebrochene Durchstechflaschen: Im Kühlschranks lagern (2 °C–8 °C). Durchstechflasche im Umkarton aufbewahren, um den Inhalt vor Licht zu schützen.

Nach der Verdünnung wird eine sofortige Anwendung empfohlen. Bei Lagerung des Infusionsbeutels mit Pombiliti ist jedoch Stabilität für 6 Stunden bei 20 °C–25 °C und 24 Stunden bei 2 °C–8 °C belegt.

Entsorgen Sie Arzneimittel nicht im Abwasser oder Haushaltsabfall. Fragen Sie Ihren Apotheker, wie Arzneimittel zu entsorgen sind, wenn Sie sie nicht mehr verwenden. Sie tragen damit zum Schutz der Umwelt bei.

6. Inhalt der Packung und weitere Informationen

Was Pombiliti enthält

Der Wirkstoff ist Cipaglucosidase alfa. Eine Durchstechflasche enthält 105 mg Cipaglucosidase alfa. Nach der Rekonstitution enthält die Lösung in der Durchstechflasche 15 mg Cipaglucosidase alfa pro ml. Die empfohlene Endkonzentration von im Infusionsbeutel verdünnter Cipaglucosidase alfa liegt zwischen 0,5 und 4 mg/ml.

Die sonstigen Bestandteile sind:

- Natriumcitrat (Ph.Eur.) (E 331)
- Citronensäure-Monohydrat (E 330)
- Mannitol (Ph.Eur.) (E 421)
- Polysorbat 80 (E 433)

Wie Pombiliti aussieht und Inhalt der Packung

Pombiliti ist ein weißes bis leicht gelbliches Pulver. Nach der Rekonstitution erscheint es als klare bis opaleszente, farblose bis leicht gelbliche Lösung, frei von Fremdpartikeln und praktisch frei von weißen bis durchscheinenden Partikeln. Die rekonstituierte Lösung muss im Infusionsbeutel weiter verdünnt werden.

Pombiliti ist ein Pulver für ein Konzentrat zur Herstellung einer Infusionslösung in einer Durchstechflasche

Packungen mit 1 Durchstechflasche, 10 Durchstechflaschen oder 25 Durchstechflaschen
Es werden möglicherweise nicht alle Packungsgrößen in den Verkehr gebracht.

Pharmazeutischer Unternehmer

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

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

Falls Sie weitere Informationen über das Arzneimittel wünschen, setzen Sie sich bitte mit dem örtlichen Vertreter des pharmazeutischen Unternehmers in Verbindung:

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

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

Diese Packungsbeilage wurde zuletzt überarbeitet im 03/2023

Weitere Informationsquellen

Ausführliche Informationen zu diesem Arzneimittel sind auf den Internetseiten der Europäischen Arzneimittel-Agentur <http://www.ema.europa.eu/> verfügbar.

Sie finden dort auch Links zu anderen Internetseiten über seltene Erkrankungen und Behandlungen.

Die folgenden Informationen sind für medizinisches Fachpersonal bestimmt:

Gebrauchsanweisung – Rekonstitution, Verdünnung und Verabreichung

Pombiliti muss mit Wasser für Injektionszwecke rekonstituiert, dann mit 9 mg/ml (0,9 %) Natriumchlorid-Injektionslösung verdünnt und schließlich über intravenöse Infusion verabreicht werden. Die Rekonstitution und Verdünnung sind in Übereinstimmung mit den Regeln der guten Praxis durchzuführen, insbesondere zur Einhaltung der Asepsis.

Da es sich bei diesem Arzneimittel um ein Protein handelt, kann es zur Partikelbildung in der rekonstituierten Lösung und im fertig verdünnten Infusionsbeutel kommen. Daher ist für die Verabreichung ein 0,2-µm-Inlinefilter mit geringer Proteinbindungskapazität zu verwenden. Es wurde gezeigt, dass die Verwendung eines 0,2-µm-Inlinefilters sichtbare Partikel entfernt und zu keinem ersichtlichen Verlust von Protein oder Aktivität führt.

Ermitteln Sie die Anzahl der zu rekonstituierenden Durchstechflaschen auf der Grundlage des individuellen Dosisschemas des Patienten (mg/kg) und nehmen Sie die erforderlichen Durchstechflaschen aus dem Kühlschranks, damit sie Raumtemperatur annehmen können (in etwa 30 Minuten). Jede Durchstechflasche Pombiliti ist nur für den einmaligen Gebrauch vorgesehen.

Aseptische Arbeitsweise anwenden.

Rekonstitution

Rekonstituieren Sie die 105 mg pro Durchstechflasche Pombiliti mit einer Spritze mit einem Nadeldurchmesser von höchstens 18 Gauge mit jeweils 7,2 ml Wasser für Injektionszwecke. Geben Sie das Wasser für Injektionszwecke tropfenweise an der Innenseite der Durchstechflasche zu, geben Sie es nicht direkt auf das lyophilisierte Pulver. Kippen und drehen Sie jede Durchstechflasche vorsichtig. Die Durchstechflasche nicht umdrehen, schwenken oder schütteln. Das entnehmbare Volumen erscheint als klare bis opaleszente, farblose bis leicht gelbliche Lösung, frei von Fremdpartikeln und praktisch frei von weißen bis durchscheinenden Partikeln. Prüfen Sie die rekonstituierten Durchstechflaschen unmittelbar auf Partikel und Verfärbung. Nicht verwenden, wenn bei der unmittelbaren Inspektion andere als die oben beschriebenen Partikel gefunden werden oder wenn die rekonstituierte Lösung verfärbt ist. Der pH-Wert der rekonstituierten Lösung beträgt etwa 6,0.

Es wird empfohlen, die Durchstechflaschen sofort nach der Rekonstitution zu verdünnen (siehe unten).

Verdünnung

Nach der oben beschriebenen Rekonstitution enthält die rekonstituierte Lösung in der Durchstechflasche 15 mg Cipaglucosidase alfa pro ml. Das rekonstituierte Volumen ermöglicht die exakte Entnahme von 7,0 ml (entsprechend 105 mg) aus jeder Durchstechflasche. Diese werden wie folgt weiterverdünnt: Nehmen Sie eine Spritze mit einem Nadeldurchmesser von höchstens 18 Gauge und ziehen Sie langsam die rekonstituierte Lösung aus jeder

Durchstechflasche, einschließlich der weniger als 7,0 ml aus der nicht zur Gänze benötigten Durchstechflasche, bis die Patientendosis erreicht ist. Die empfohlene Endkonzentration von Cipaglucosidase alfa im Infusionsbeutel liegt zwischen 0,5 und 4 mg/ml. Entfernen Sie Luft aus dem Infusionsbeutel. Entnehmen Sie auch so viel 9 mg/ml (0,9 %) Natriumchlorid-Injektionslösung, wie rekonstituiertes Pombiliti in den Infusionsbeutel kommt. Injizieren Sie langsam das rekonstituierte Pombiliti direkt in die 9 mg/ml (0,9 %) Natriumchlorid-Injektionslösung. Den Infusionsbeutel vorsichtig umdrehen oder massieren, um die verdünnte Lösung zu mischen. Den Infusionsbeutel nicht schütteln oder zu stark bewegen.

Die fertige Infusionslösung ist möglichst bald nach der Zubereitung zu verabreichen.

Nicht verwendetes Arzneimittel oder Abfallmaterial ist entsprechend den nationalen Anforderungen zu entsorgen.

Verabreichung

Die Pombiliti-Infusion beginnt 1 Stunde nach der Einnahme von Miglustat-Kapseln. Kommt es bei der Infusion zu einer Verzögerung, darf der Beginn der Infusion nicht mehr als 3 Stunden nach der Einnahme von Miglustat liegen.

Die empfohlene Pombiliti-Dosis beträgt 20 mg/kg Körpergewicht einmal alle 2 Wochen als intravenöse Infusion.

Die Infusionen sind mit ansteigender Rate zu verabreichen. Es wird empfohlen, die Infusion mit einer anfänglichen Rate von 1 mg/kg/Std. zu beginnen und schrittweise um 2 mg/kg/Std. alle 30 Minuten zu erhöhen, wenn keine Anzeichen von IARs (infusionsassoziierten Reaktionen) vorliegen, bis eine maximale Rate von 7 mg/kg/Std. erreicht ist.