



## Preparazione, somministrazione e monitoraggio del Myozyme

*Quando riceverai per la prima volta il trattamento con il Myozyme sarà sicuramente per te una nuova esperienza. Avrai la necessità di porre una serie di domande, dopotutto è la prima volta che affronti qualcosa di simile. Potresti domandarti: "cosa mi aspetta?" "cos'è il Myozyme e in che modo entra nel mio corpo?" "che succede se non sopporto gli aghi?" "quanto tempo ci vorrà?" "cosa posso fare durante la terapia?" considera questo manuale il punto di partenza per avere alcune risposte su come il Myozyme venga preparato e somministrato, quale sarà il trattamento migliore e come il tuo corpo potrà reagire. Preparati una lista di domande e discutine con il tuo medico prima di iniziare la terapia.*



### **D** Com'è preparato il Myozyme?

**R** Il Myozyme è contenuto in una fiala di vetro da conservare in frigorifero prima dell'uso. Esso appare come una polvere bianca. Un farmacista preparerà la soluzione diluendolo in acqua sterile prima della somministrazione. In soluzione il prodotto appare chiaro, senza colore o leggermente giallino (occasionalmente alcune particelle possono essere presenti

nella soluzione senza, però, alterare l'efficacia del trattamento). Per evitare che particelle di proteine possano entrare nel tuo corpo, è necessario interporre un filtro tra la tua vena ed il contenitore della soluzione. Una volta che il Myozyme è stato solubilizzato, è stabile e può essere somministrato al paziente entro un breve periodo. Il processo di solubilizzazione può richiedere diverse ore in funzione del numero di fiale utilizzate.

#### **Altre definizioni della Malattia di Pompe**

Deficit di alfa-glucosidase acida, deficit di maltasi acida, malattia da accumulo di glicogeno di Tipo II.

### **D** Com'è somministrato il Myozyme?

**R** Dopo che il Myozyme è stato mescolato in acqua, viene posto in appositi contenitori da infusione e quindi iniettato per via endovenosa (attraverso la circolazione sanguigna). Prima della procedura di infusione l'infermiere o il medico ti illustreranno il sistema. Durante l'infusione sarai costantemente monitorato per controllare ogni eventuale reazione al farmaco e, se necessario, intervenire. E' possibile che durante l'infusione qualche particella di proteina possa intasare il filtro. Se questo accade, la pompa da infusione andrà in allarme e sarà necessario sostituire il filtro.

Al termine di ogni trattamento è importante effettuare un lavaggio con soluzione salina (cloruro di sodio in acqua sterile), lasciandola defluire attraverso il tubo da infusione in modo da assicurarsi che la quantità di Myozyme preparata viene completamente somministrata.

La quantità di Myozyme che ricevi è in funzione del peso corporeo. Il dosaggio suggerito è di 20 mg/ kg di peso corporeo, somministrato ogni due settimane. In alcuni studi clinici i pazienti hanno ricevuto dosi fino a 40 mg/kg di peso.

La normale procedura prevede che l'infusione sia somministrata direttamente in vena. Ciò può essere eseguito facilmente se hai buone vene, di facile accessibilità. Alcuni pazienti, al contrario, hanno piccole

vene difficili da prendere. Nello specifico, neonati e bambini hanno vene molto piccole. Per questi pazienti un "port-a-chat" o un "PICC line" potrebbe essere una comoda opzione.

Un port-a-chat è impiantato sottocute. E' un piccolo ausilio che ti permette di ricevere l'infusione senza utilizzare aghi. Il vantaggio è la facile accessibilità alle vene. Lo svantaggio è che con questo tipo di ausilio c'è un maggiore rischio di infezione rispetto alla tipica infusione endovenosa.

Un PICC line è un lungo, sottile, flessibile tubo simile ad un catetere. Esso viene inserito in una delle grandi vene del braccio vicino alla piega del gomito. Poi viene sospinto all'interno della vena fino al punto d'incontro di una grande vena appena sopra il cuore. Il PICC line può essere utilizzato per effettuare il trattamento con il Myozyme. Può essere anche utilizzato per prelevare campioni di sangue. Il PICC line può essere lasciato in sede per settimane o mesi. Questo può permetterti di ricevere trattamenti senza ricorrere all'uso di aghi. Lo svantaggio di questo sistema è il maggior rischio di infezioni.

Se le tue vene sono di difficile accesso è una buona idea discutere di questa possibile opzione con il tuo medico.

## Preparazione, somministrazione e monitoraggio del Myozyme (continua)

---

**D** Se, anche avendo buone vene, avessi tanta paura degli aghi?

**R** Ognuno di noi ha una differente reazione agli aghi. Non sarai l'unico a sentirti a disagio al pensiero di frequenti iniezioni. La cosa importante da ricordare è che coloro che si occupano di te sono lì per aiutarti. Parla con loro delle tue preoccupazioni prima di iniziare l'infusione. Puoi leggere del materiale che ti suggerisca come gestire la tua paura degli aghi scaricando il documento dal titolo "Paura degli Aghi" dal sito dell'International Pompe Association [www.worldpompe.org/NeedleFear.pdf](http://www.worldpompe.org/NeedleFear.pdf).

**D** Che cosa dovrei aspettarmi durante l'infusione di Myozyme?

**R** Il tempo complessivo di un'infusione ti richiederà 4 o 5 ore. Quando arriverai per la prima volta per effettuare la tua infusione il medico ti illustrerà la procedura e annoterà la tua condizione clinica. Forse dovrai aspettare un po' di tempo prima che l'infusione inizi. Questo, perché il Myozyme dovrà essere usato non appena preparato. Quando sarà pronto, il tubicino inserito nelle tue vene sarà collegato ad una speciale pompa elettronica che infonderà il Myozyme.

Durante l'infusione potrai leggere, guardare la TV, scrivere o semplicemente stare disteso e rilassato. I bambini potranno giocare, leggere o guardare film. Se

necessario, potrai andare in bagno. Il medico ti terrà sotto controllo durante tutta l'infusione. Comunica con tranquillità come ti senti e se hai delle preoccupazioni.

**D** Cosa succede se si manifesta una reazione durante l'infusione?

**R** La maggior parte degli effetti collaterali manifestati durante l'infusione di Myozyme sono di moderata entità. Le reazioni possono includere nausea, vomito, mal di testa, tosse e tensione nervosa. Se hai una leggera, o transitoria, reazione è possibile proseguire con l'infusione. In caso di reazioni severe, la somministrazione può essere rallentata o immediatamente sospesa.

Ad alcuni pazienti è stato somministrato un antistaminico per via orale o dell'antipiretico, prima di iniziare il trattamento. Ciò ha contribuito a contenere le reazioni meno importanti.

Se ti senti male o hai la febbre prima di iniziare l'infusione, è bene comunicarlo ai medici. Effetti collaterali possono comparire ancor prima se non ti senti bene.

Naturalmente, come per ogni terapia medica, c'è sempre il rischio di una reazione allergica. Se dovessi avere una reazione avversa molto severa, il medico deciderà di interrompere immediatamente il trattamento e di intervenire con le appropriate terapie.

## Preparazione, somministrazione e monitoraggio del Myozyme (continua)

---

Delle appropriate misure mediche di supporto dovrebbero essere sempre disponibili quando si somministra il Myozyme. Per informazioni dettagliate, relative ai possibili effetti collaterali legati all'uso del Myozyme, visita i seguenti siti:

Per i paesi Europei

[www.emea.eu.int/humandocs/Humans/EPAR/myozyme/myozyme.htm](http://www.emea.eu.int/humandocs/Humans/EPAR/myozyme/myozyme.htm)

*(Per leggere il foglietto illustrativo in lingua italiana posizionati sul quadratino blu corrispondente alla sigla "IT".)*

Per gli Stati Uniti e per altri paesi non Europei:

[www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/drugsatfda/index.cfm?fuseaction=Search.LabelApprovalHistory](http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/drugsatfda/index.cfm?fuseaction=Search.LabelApprovalHistory)

Approval History.

### **D** Cosa posso aspettarmi nei giorni successivi all'infusione?

**R** Potresti sentirti stanco appena fatta l'infusione e durante la serata.

Dopo tutto, trascorrere un'intera giornata in ospedale può renderti spossato. Recupererai le tue energie sentendoti molto meglio nei giorni successivi. Alcuni pazienti restano attivi e carichi di energia per l'intero periodo tra le due infusioni. Ognuno ha, comunque, una risposta soggettiva al trattamento.

---

La presente pubblicazione si prefigge di fornire informazioni generali sul tema trattato. Viene distribuita come servizio pubblico erogato dall'International Pompe Association, fermo restando che l'International Pompe Association non si impegna a fornire prestazioni mediche o altri servizi professionali. La medicina è una scienza in costante evoluzione. L'errore umano e i cambiamenti della prassi medica non consentono di garantire la precisione di materiali che trattano una materia così complessa. Le presenti informazioni devono essere pertanto confermate da altre fonti, in particolare fonti mediche.