



## Bereiding, toediening en monitoring van Myozyme

*De eerste keer dat u Myozyme toegediend krijgt zal naar alle waarschijnlijkheid een totaal nieuwe ervaring zijn voor u. U zult waarschijnlijk een heleboel vragen hebben – en dat is terecht. Al met al heeft u nog nooit zo iets als dit meegemaakt. U kunt zich de volgende dingen afvragen: Wat kan ik verwachten? Hoe ziet Myozyme eruit, en hoe komt het in mijn lichaam? Wat gebeurt er als ik bang ben voor naalden? Hoe lang zal het duren? Wat kan ik doen gedurende de behandeling? U kunt deze publicatie beschouwen als een eerste stap om een aantal antwoorden op uw vragen te krijgen. Over hoe Myozyme wordt bereid en toegediend, hoe de behandeling zal verlopen en hoe uw lichaam kan reageren. Indien u andere vragen heeft kunt u deze gerust aan uw arts stellen voordat u met de behandeling begint.*



### **V** Hoe wordt Myozyme bereid?

**A** Myozyme zit in een glazen flesje en wordt voor gebruik in de koelkast bewaard. Het ziet eruit als een wit tot gebroken wit poeder. Voordat Myozyme toegediend wordt aan een patiënt zal een apotheker Myozyme per flesje mengen met steriel water. Nadat het gemengd is, ziet het eruit als een helder, kleurloos tot licht gele oplossing (af en toe kunnen er eiwitdeeltjes in de oplossing zitten, maar dit

heeft geen invloed op de werkzaamheid van de behandeling). Om te voorkomen dat eiwitdeeltjes in uw lichaam komen, is het noodzakelijk om een filter tussen uw infuuslijn en uw lichaam te plaatsen. Zodra Myozyme is opgelost, is het slechts een korte periode houdbaar. Het proces om Myozyme volledig op te lossen kan een aantal uren in beslag nemen. Dit is afhankelijk van de hoeveelheid benodigde flesjes.

#### **Andere namen voor de ziekte van Pompe**

Zure alpha-glucosidase deficiëntie, Zure maltase deficiëntie, Glycogeen stapelingsziekte type II, Glycogenose II en Lysosomale alpha-glucosidase deficiëntie.

## Bereiding, toediening en monitoring van Myozyme (vervolg)

---

### **V** Hoe wordt Myozyme toegediend?

**A** Nadat Myozyme wordt opgelost met water, wordt het in een speciale infuus zak gedaan. Daarna wordt het intraveneus (via de bloedbaan) toegediend. Voordat Myozyme wordt toegediend zal uw verpleegkundige of arts u de procedure uitleggen. Gedurende het infuus wordt u zorgvuldig in de gaten gehouden worden om te zien of u enige bijwerkingen van de behandeling heeft, waarbij ingegrepen moet worden. Het is mogelijk dat een eiwitdeeltje uw filter tijdens het infuus blokkeert. Indien dit gebeurt zal de infuuspomp alarmeren en moet het filter vervangen worden.

Aan het eind van de behandeling is het belangrijk dat de gehele infuuslijn wordt doorgespoeld met saline (een oplossing van sodium chloride in steriel water). Dit zorgt ervoor dat alle Myozyme uit de zak en lijn gespoeld wordt en aan u wordt toegediend.

De hoeveelheid Myozyme dat u ontvangt is afhankelijk van uw lichaamsgewicht. De aanbevolen dosering is 20 mg/kg lichaamsgewicht dat elke twee weken wordt toegediend. In een aantal klinische studies ontvingen Pompe patiënten een dosering tot 40 mg/kg lichaamsgewicht.

De normale procedure is dat de infuuslijn in één van uw aders wordt ingebracht. Dit kan gemakkelijk gedaan worden als u goed toegankelijke bloedvaten heeft. Sommige patiënten hebben echter smalle aderen of

aderen die niet gemakkelijk aan te prikken zijn. Dit is met name bij baby's en kinderen het geval. Voor deze patiënten kan een port-a-cath of een PICC lijn een optie zijn.

Een port-a-cath is een klein doosje dat onder uw huid wordt geplaatst. Door met een naaldje, via de huid, in het doosje te prikken, kan Myozyme op eenvoudige wijze worden toegediend. Het aanprikken via een port-a-cath verloopt veelal veel eenvoudiger en pijnlozer dan zonder port-a-cath. Het nadeel is dat er een hoger risico op een infectie is dan met een normaal intraveneus infuus.

Een PICC (Perifeer Ingebrachte Centrale Catheter) lijn is een lang, dun, flexibel slangetje. Dit wordt ook wel een catheter genoemd. Het wordt in de arm bij de elleboog in één van de grote aderen ingebracht. Het wordt dan de ader ingeduwd totdat het uiteinde in een grote ader vlak boven het hart zit. De PICC lijn kan gebruikt worden om de Myozyme toe te dienen. Het kan ook gebruikt worden om bloedmonsters te nemen. De PICC lijn kan een aantal weken tot maanden in de arm blijven zitten. Dit geeft u de mogelijkheid om behandeld te worden zonder dat u vaak moet worden aangeprikt met een naald. Het nadeel van de PICC lijn is echter dat er een hoger risico op infecties is.

Indien uw aders moeilijk aan te prikken zijn, kan het een idee zijn om deze opties met uw arts te bespreken.

## Bereiding, toediening en monitoring van Myozyme (vervolg)

---

### **V** Wat gebeurt er als ik goede aderen heb, maar bang ben voor naalden?

**A** Iedereen reageert verschillend op naalden. U bent niet de enige die zich ongemakkelijk voelt bij de gedachte aan frequente injecties. Het is echter belangrijk te weten dat de specialisten in de gezondheidszorg er zijn om u te helpen. Praat met hen over uw angst voordat u uw behandeling start. Op de website van de International Pompe Association kunt u meer informatie vinden over hoe u met uw angst voor naalden om kunt gaan. De brochure over 'Naald Angst' is te downloaden op [www.worldpompe.org/NeedleFear.pdf](http://www.worldpompe.org/NeedleFear.pdf)

### **V** Wat kan ik tijdens een infuus met Myozyme verwachten?

**A** Uw infuus met Myozyme zal ongeveer 4 tot 5 uur duren. Indien u voor het eerst komt voor uw behandeling zal uw medisch specialist u eerst de gehele procedure uitleggen en uw medische gegevens noteren. Het kan zijn dat u dan eerst een korte tijd moet wachten voordat de behandeling begint. Dit komt omdat Myozyme zo snel mogelijk na bereiding toegediend moet worden. Als de Myozyme klaar is wordt u aangesloten op het infuussysteem dat verbonden is met een speciale elektronische pomp die de Myozyme in uw lichaam pompt.

Gedurende de behandeling kunt u lezen, televisie kijken, lichamelijke oefeningen doen of simpelweg uitrusten. Kinderen

kunnen spelletjes spelen, lezen of een video kijken. Indien nodig, kunt u gebruik maken van het toilet. Uw medisch specialist zal u gedurende het infuus in de gaten houden. U kunt uw arts en of verpleegkundige rustig vragen stellen of uw gevoelens kenbaar maken indien dit nodig is.

### **V** Wat gebeurt er als ik een reactie krijg tijdens een infuus?

**A** Het merendeel van de bijwerkingen tijdens een infuus met Myozyme is mild tot matig van aard. Deze reacties zijn bijvoorbeeld misselijkheid, overgeven, hoofdpijn, hoesten en gespannenheid. Indien u een milde of kortdurende reactie heeft, kunt u waarschijnlijk gewoon doorgaan met uw behandeling. Bij een heftige reactie kan de infuussnelheid verminderd worden of het infuus onmiddellijk stopgezet worden.

Sommige patiënten krijgen een orale antihistaminicum of een koortswerend middel voordat ze met een infuus-behandeling beginnen. Dit helpt om kleine reacties tegen te gaan.

Indien u zich voor de behandeling ziek voelt of koorts heeft, moet u dit voordat u de behandeling start, melden aan de arts of verpleegkundige. Bijwerkingen kunnen namelijk eerder optreden als u zich niet lekker voelt.

## Bereiding, toediening en monitoring van Myozyme (vervolg)

---

Natuurlijk geldt voor elke medische behandeling dat er een kans is op een allergische reactie. Indien u ernstige bijwerkingen ervaart, zal uw medisch specialist het infuus onmiddellijk stopzetten en u van de nodige medische zorg voorzien.

De benodigde medische voorzieningen moeten direct binnen bereik zijn als Myozyme wordt toegediend. Voor gedetailleerde informatie over de mogelijke bijwerkingen van Myozyme kunt u terecht op de volgende websites:

Indien u in Europa woont  
[www.emea.eu.int/humandocs/Humans/EPAR/myozyme/myozyme.htm](http://www.emea.eu.int/humandocs/Humans/EPAR/myozyme/myozyme.htm)

(Om deze informatie in het Nederlands te kunnen lezen, volg de instructies in de publicatie *Bronnen voor meer informatie* van de *Treatment Edition* op pagina 6)

Indien u in de Verenigde Staten woont of in een ander land buiten Europa  
[www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/drugsatfda/index.cfm?fuseaction=Search.Label\\_Ap  
provalHistory](http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/drugsatfda/index.cfm?fuseaction=Search.Label_ApprovalHistory).

### **V** Wat kan ik verwachten nadat ik een infuus heb gehad?

**A** U kunt zich na uw infuus en gedurende de avond moe voelen. Met name omdat een hele dag in het ziekenhuis doorbrengen erg vermoeiend is. U zal uw energie weer terugkrijgen en u na één of een aantal dagen veel beter voelen. Sommige patiënten blijven actief en energiek gedurende de gehele periode tussen de behandelingen. Anderen voelen een afname van de energie vlak voordat zij de volgende behandeling krijgen. Iedereen reageert verschillend.

---

Deze publicatie is bedoeld om algemene informatie te verstrekken en wordt verspreid door de International Pompe Association als service, met dien verstande dat de International Pompe Association geen medische of andere professionele dienstverlening verricht. De medische wetenschap is constant in beweging en menselijke fouten en veranderingen in de praktijk maken het onmogelijk om de exacte nauwkeurigheid van zulke complexe materialen te bepalen. Bevestiging van deze informatie vanuit andere bronnen, vooral de eigen arts, is noodzakelijk.