



Myozyme の調製、投与、モニタリング

Myozyme を初めて投与することはあなたにとっておそらく全く新しい経験となるはずです。いろいろ聞きたいことがあるのも当然のことです。このようなことは以前にはなかったことなのですから。どんなことが期待できるのだろうか？Myozyme ってどんなものだろう？どうやって体内に入るのだろうか？針が嫌いな場合はどうしたらいいのだろうか？時間はどれくらいかかるのだろうか？治療の間は何をしたらいいのだろうか？など様々な質問があることでしょう。ここではまず、Myozyme がどのように調製され投与されるか、治療はどのようなものか、あなたの体がどのように反応するか、などに答えていきます。他に質問があれば書き留めて、治療を受ける前に医師と話し合ってください。



Q Myozyme はどのように調製するのですか？

A Myozyme はガラスのバイアルに入っており、使用前は冷蔵庫に保管されています。白または黄白色の粉末です。薬剤師が1回に Myozyme 1 バイアルを滅菌水で溶解（混合）してから、患者に投与します。混合した後は無色透明か微黄色の溶液になります（時々混合液の中に粒子がありますが、治療の有効性に影響ありません）。タンパク質の粒子が体内に入らないように、点滴ラインと体の間にフィルターをつける必要があります。Myozyme をいったん混合したら、安定していて投与できるのは短時間の間です。使用するバイアルの数によって混合には数時間かかります。

ポンペ病の別名

酸性αグルコシダーゼ欠損症、酸性マルターゼ欠損症（AMD）、グリコーゲン貯蔵障害（GSD）II型、糖原病 II型、およびライソゾーム性αグルコシダーゼ欠損症。世界のさまざまな地域では、ポンペが「ポンペイ」、「ポンプー」、「ポンピー」などと発音されることもあります。

Q Myozyme をどのように投与するのですか？

A Myozyme と水を混合したら、専用の点滴バッグに入れ、静脈内に (血流を介して) 点滴します。投与の前に看護師か医師が手順を説明します。点滴の間は、治療に対する反応を観察して必要な措置がとれるように注意深くモニターします。点滴の間にタンパク質の粒子がフィルターをブロックする可能性があります。この場合は点滴ポンプのアラームが鳴り、フィルターを交換する必要があります。

各治療セッションが終わるごとに、点滴ラインを生理食塩水 (滅菌水に塩化ナトリウムを溶かしたもの) で「フラッシュ」 (洗い流し) します。これによって Myozyme が装置から全部正しくフラッシュされ、投与されるようにします。

投与される Myozyme の量は体重によって異なります。推奨用量は体重 1 kg 当たり 20 mg を 2 週間に 1 回投与します。一部の臨床試験では、ポンペ病患者に最高 40 mg/kg を投与しました。

通常の手順は、点滴ラインを静脈の 1 つに挿入するというものです。アクセスしやすい静脈の場合は簡単です。しかし、静脈が細くアクセスしにくい患者がいます。特に、乳児や小児は静脈が非常に細く、この場合皮下埋め込みカテーテルや PICC ラインという方法もあります。

皮下埋め込みカテーテルは皮膚の下に埋め込みます。これは小さな器具で、針を使うことなく点滴が受けられます。長所は静脈にアクセスしやすいことです。この種の器具の短所は、通常の静脈内投与よりも感染のリスクが高いことです。

PICC ラインは、カテーテルとして知られる長く細いフレキシブルチューブです。曲げた肘の近くの大きな腕の静脈の 1 つに挿入し、先端が心臓のすぐ上の大きな静脈に入るまで押し進めます。PICC ラインを Myozyme 治療に使用することができ、また採血にも使用されます。PICC は数週間または数カ月入れたままにできます。何度も針を刺す必要が無く、治療が受けられます。PICC ラインの短所も、感染のリスクが高いことです。

静脈がアクセスしにくい人はこのような方法を医師と話し合ってください。

Q 静脈はアクセスしやすいのですが、針が怖い場合はどうしたらいいのですか？

A 針への反応は人それぞれです。何度も注射をするのが嫌な人はあなただけではありません。医療専門家はあなたのお手伝いをするためにいることを忘れないでください。点滴を始める前に不安に感じていることを伝えてください。針が怖い場合はどうすればいいかについての詳細は、International Pompe Association のホームページ www.worldpompe.org/NeedleFear.pdf から「Needle Fear」(針への恐怖) と題したパンフレットをダウンロードしてご覧ください。

Q Myozyme を点滴している間はどうすればいいのですか？

A Myozyme の点滴には通常 4～5 時間かかります。まず治療に来られたら、医療専門家が手順を説明し、あなたの医療データを記録します。始まるまでにしばらくお待ちいただくかもしれません。それは Myozyme を混合したらすぐに使用しなくてはならないからです。Myozyme の準備ができたら静脈内チューブを取り付け、チューブを特殊な電気ポンプにつないで、Myozyme を体内に点滴します。

治療の間は本を読んだり、テレビを見たり、運動したりできます。横になって休んでいてもかまいません。小児ならゲームをしたりビデオを見たりできます。必要ならばトイレにも行けます。点滴の間は医療専門家がモニターしています。具合が悪かったり、問題がある場合はかならずそう伝えてください。

Q 点滴の間に反応がある場合はどうなりますか？

A Myozyme 点滴中の副作用の大半は、軽度から中程度のものです。これには、悪心、嘔吐、頭痛、咳、動揺などがあります。軽度もしくは一時的な反応の場合は点滴を続けることができます。より重大な反応の場合は、点滴速度を遅くしたり、直ちに中止することがあります。

点滴の前に経口の抗ヒスタミン薬や解熱剤を服用している患者もいます。これで小さな反応を抑えることができます。

治療の前に体調が悪かったり熱がある場合は、医師や看護師に伝えてください。体調がよくないと副作用が早く現れることがあります。

Myozyme の調製、投与、モニタリング (続き)

当然、医学的治療には常にアレルギー反応のリスクがあります。重大な有害反応がある場合、医療専門家が直ちに点滴を中止し、しかるべき治療を行います。

Myozyme を投与する際はしかるべき医療サポートがいつでも受けられるようにする必要があります。Myozyme の副作用についての詳細は以下のサイトをご覧ください。

米国その他ヨーロッパ以外の国に住んでいる場合

www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/drugsatfda/index.cfm?fuseaction=Search.Label_ApprovalHistory

ヨーロッパに住んでいる場合

www.emea.eu.int/humandocs/Humans/EPAR/myozyme/myozyme.htm

Q 点滴の後はどんな気分になることが予測されますか？

A 点滴直後とその日の夜は疲れがあるかもしれません。1日を病院で過ごすわけですから気分がすぐれないのは当然です。2、3日すれば元気になり、気分も良くなるでしょう。点滴と点滴の間中元気な患者もいれば、次の点滴の直前に元気のない患者もいます。点滴の前と後の反応は人によって違います。

本発行物は扱っている事柄に関する一般情報を提供するように作成されています。International Pompe Association が医療などの専門サービスを提供していないという理解のもと、International Pompe Association による公共サービスとして本発行物が提供されています。医療は常に変化する科学です。診療においては人的ミスや変更が発生するため、このような複雑な資料の正確さを保証することは不可能です。本発行物の情報については別の情報源、特にかかりつけの医師に確認することが必要です。Myozyme の効果は人によって異なることに留意してください。