



# POMPEConnections

## Myozyme için tedavi önlemleri

*Her tıbbi tedaviyle bağıntılı olarak belli bir derecede risk söz konusudur. Riskleri anlamak ve bu riskleri minimum düzeye indirmek için önlemler almaya hazırlıklı olmak Myozyme ile tedavinin yönetilmesinde yaşamsal önem taşımaktadır. Bu kitapçık, hangi tip risklere maruz kalabileceğinizi ve doktorların bu riskleri minimum düzeye indirmek için Myozyme'i güvenli olarak nasıl uygulayabileceklerini açıklamaktadır.*



### **S** Myozyme ile bağlantılı risklerden bazıları nelerdir?

**C** Pompe hastalarında Myozyme kullanılarak bir dizi klinik çalışma gerçekleştirilmiştir. Bu araştırmalarda Myozyme ile tedavi edilen hastaların yaklaşık %39'unda infüzyon advers (ters) reaksiyonları (IAR) gelişmiştir. Bu reaksiyonların çoğu hafif ila orta dereceli olmakla birlikte, bazı şiddetli reaksiyonlar da bildirilmiştir. Bu çalışmalar sırasında, en sık (10 hastada 1'den fazlasında) görülen yan

etkiler infüzyon sırasında veya infüzyondan sonra meydana gelmiştir. Bu yan etkiler yüz kızarıklığı, ürtiker (kaşıntılı döküntü), pireksi (ateş) ve döküntüyü içermiştir. İşte bu nedenle infüzyonlar sırasında ve sonrasında yakından izleneceksiniz.

Eğer ilerlemiş Pompe hastalığınız varsa, kalp ve solunum fonksiyonunuz tehlike altında olabilir. Bu da sizi infüzyonla bağlantılı reaksiyonlardan kaynaklanan



[www.worldpompe.org](http://www.worldpompe.org)

Tedavi Baskısı



destiği ile

### **Pompe hastalığının diğer adları**

Asit alfa-glukozidaz yetersizliği, asit maltaz yetersizliği (AMY), tip II glikojen depo hastalığı (GDH), glikojenoz II ve lizozomal alfa-glukozidaz yetersizliği.

## Myozyme için tedavi önlemleri (devam)

daha yüksek bir şiddetli komplikasyonlar riskine yatkınlaştırabilir. Myozyme uygulaması sırasında yakından izlenmeniz gerekir.

Myozyme infüzyonunuz sırasında var olan akut bir hastalık (örneğin, nezle, pnömoni veya enfeksiyon) da advers reaksiyon gelişme riskinizi arttırabilir. Myozyme uygulamasından önce klinik durumunuz dikkatle gözden geçirilecektir.

Antikorların (Myozyme'a yanıt olarak üretilen proteinler) gelişmesi de olasıdır. İki klinik çalışmada, hastaların çoğunluğunun (%89) alglukozidaz alfaya karşı IgG antikorları testi pozitif bulunmuştur. Antikor gelişen hastaların çoğunluğunda bu durum Myozyme kullanımının ilk üç ayı içinde gerçekleşmektedir. Antikor gelişen bazı hastaların tedaviye klinik yanıtı daha kötü olabilir ya da antikor düzeyleri yükseldikçe motor fonksiyonu kaybedebilirler. Bu hastalar yakından izlenmelidir.

Eğer alglukozidaz alfa ya da Myozyme içindeki diğer bileşenlerden herhangi birine aşırı duyarlıysanız (allerjikseniz) bu tedaviyi almamalısınız.

Yaşıyor olabileceğiniz tüm potansiyel yan etkileri ya da Myozyme'ın güvenliliği konusunda sahip olabileceğiniz soruları tedaviyi yürüten ekibe bildirmeniz gerekir.

Myozyme uygulandığında uygun tıbbi destek önlemleri hemen kullanıma hazır olmalıdır. Myozyme'ın potansiyel yan etkileriyle ilgili daha ayrıntılı bilgi için, aşağıdaki web sitelerini ziyaret ediniz:

Eğer Amerika Birleşik Devletleri ya da Avrupa dışındaki diğer ülkelerde yaşıyorsanız, [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) web sitesini ziyaret ediniz.

Eğer Avrupa'da yaşıyorsanız, [www.emea.eu.int/humandocs/Humans/EPAR/myozyme/myozyme.htm](http://www.emea.eu.int/humandocs/Humans/EPAR/myozyme/myozyme.htm) web sitesini ziyaret ediniz.

### **S** Myozyme ilgili olarak önerilen önlemler nelerdir?

**C** Myozyme ile tedavi edilen hastaların yaklaşık %39'unda infüzyon advers reaksiyonları (IAR) gelişmiştir. Bazı reaksiyonlar şiddetli olmuştur. Myozyme uygulandığında uygun tıbbi destek önlemleri hemen kullanıma hazır olmalıdır.

Eğer Myozyme infüzyonları alırken reaksiyonlar yaşarsanız, sonraki infüzyonlarda ihtiyatla tedavi edileceksiniz. Hafif ve geçici etkiler tıbbi tedavi ya da infüzyonun kesilmesini gerektirmeyebilir. Reaksiyonlarınız infüzyon hızı azaltılarak, infüzyona geçici ara verilerek ya da ağız yoluyla bir antiallerjik ve/veya ateş düşürücü ilaçla ön tedavi uygulanarak kontrol altına alınabilir. Myozyme infüzyonu sırasında herhangi bir zamanda ya da genellikle infüzyondan iki saat sonrasına kadar bir reaksiyon yaşayabilirsiniz. Yüksek infüzyon hızlarıyla reaksiyon görülme olasılığı daha yüksektir.

## Myozyme için tedavi önlemleri (devam)

---

Eğer gebeyseniz, kesin gereklilik olmadıkça Myozyme tedavileri kullanılmamalıdır. Alglukozidaz alfa meme sütüne geçebileceğinden, Myozyme kullanıldığında emzirmenin kesilmesi önerilmektedir.

**S** Myozyme'in güvenli kullanımıyla ilgili daha fazla bilgi nerede bulunmaktadır?

**C** Myozyme'in güvenli kullanımıyla ilgili sorularınız varsa, lütfen doğrudan doktorunuzla konuşunuz.

---

Bu yayın, kapsanan konuyla ilgili genel bilgi sağlamak amacıyla tasarlanmıştır. Uluslararası Pompe Derneği tarafından bir kamu hizmeti olarak dağıtılmaktadır ve Uluslararası Pompe Derneği, tıbbi veya diğer mesleki hizmetler sunma amacını taşımamaktadır. Tıp sürekli değişmekte olan bir bilimdir. İnsan hatası ve uygulamadaki değişiklikler, böylesi karmaşık materyallerin kesin doğruluğunu garanti etmeyi olanaksız kılmaktadır. Bu bilgilerin diğer kaynaklar, özellikle de hastanın kendi hekimi tarafından doğrulanması gerekmektedir. Myozyme'in etkililiğinin kişiden kişiye farklılık gösterdiğini lütfen unutmayınız.