



# LEITFADEN FÜR ANGEHÖRIGE DER HEILBERUFE

## KANUMA (Sebelipase alfa) 2 mg/ml Konzentrat zur Herstellung einer Infusionslösung

### Wichtige Sicherheitsinformationen:

Dieser Leitfaden zur Anwendung von Sebelipase alfa wurde als Teil der Zulassungsaufgaben erstellt und durch das Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM) genehmigt. Im Rahmen des Risikomanagement-Plans wurden, über die Routinemaßnahmen hinaus, zusätzliche risikominimierende Maßnahmen mit der Zulassung des Arzneimittels beauftragt, um auf das Krankheitsregister aufmerksam zu machen, das Risiko von Hypersensitivitätsreaktionen einschließlich anaphylaktischer Reaktionen hinzuweisen und Informationen zur Testung von Antikörpern zu geben.

Dieser Leitfaden ist damit verpflichtender Teil der Zulassung um sicherzustellen, dass Angehörige der Heilberufe, die Sebelipase alfa verschreiben und zur Anwendung bringen, die besonderen Sicherheitsanforderungen kennen und berücksichtigen.

▽ Dieses Arzneimittel unterliegt einer zusätzlichen Überwachung. Dies ermöglicht eine schnelle Identifizierung neuer Erkenntnisse über die Sicherheit. Angehörige von Gesundheitsberufen sind aufgefordert, jeden Verdachtsfall einer Nebenwirkung zu melden. Hinweise zur Meldung von Nebenwirkungen, siehe am Ende des Materials.

Lesen Sie die Fachinformation (Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels/SmPC) sorgfältig durch, bevor Sie KANUMA verordnen oder applizieren.

## EINLEITUNG

KANUMA ist indiziert für die Langzeit-Enzymersatztherapie (EET) bei Patienten aller Altersstufen mit Mangel an lysosomaler saurer Lipase (LAL).

### A) LAL-MANGEL-REGISTER

Da derzeit die Informationen zu LAL-Mangel und zur Behandlung mit Sebelipase alfa noch begrenzt sind, wurde ein allgemeines Krankheitsregister geschaffen. Ziel dieses Registers ist es, Informationen zur Krankheitsprogression und Informationen zu den Auswirkungen der Behandlung zu sammeln und bereitzustellen. Da es sich um ein Krankheitsregister und nicht um ein arzneimittelgebundenes Register handelt, können und sollen auch Patienten aufgenommen werden, die nicht mit Sebelipase alfa behandelt werden. Ärzte, die Patienten mit LAL-Mangel betreuen, sind ausdrücklich aufgefordert, ihre Patienten in das Register aufzunehmen.

Informationen über das Register für LAL-Mangel erhalten Sie von der lokalen Vertretung des Inhabers der Zulassung unter [medinfo.EMEA@alexion.com](mailto:medinfo.EMEA@alexion.com), +49 (0) 302 295 73 72, Alexion Pharma Germany GmbH, Landsberger Straße 300, 80687 München, Deutschland oder auf der Website [www.laldeficiencyregistry.com](http://www.laldeficiencyregistry.com).

### B) ANTI-DRUG-ANTIKÖRPER/ADA

In klinischen Zulassungsstudien wurden bei etwa 21% (9/42) der Patienten, die KANUMA erhielten, Antikörper gegen das Arzneimittel (Anti-Drug-Antikörper/ADA) nachgewiesen. Von diesen entwickelten insgesamt vier Patienten neutralisierende Antikörper. Basierend auf den bislang nur in begrenztem Umfang vorliegenden Daten scheinen ADA bei Kleinkindern häufiger aufzutreten. Bei den meisten Patienten, die ADA entwickelten, geschah dies innerhalb der ersten 3 Monate nach Exposition.

Die Sammlung von Informationen über ADA gegen Sebelipase alfa ist wichtig, um die Auswirkungen der Entwicklung von ADA auf einen möglichen Wirksamkeitsverlust oder auf die Entwicklung möglicher Überempfindlichkeitsreaktionen, einschließlich Anaphylaxie, zu evaluieren und zur Identifizierung von weiteren mit der Entwicklung von ADA verbundenen Risikofaktoren beitragen zu können.

Bei schweren Infusionsreaktionen und bei ausbleibender oder nachlassender Wirkung sollten Patienten auf ADA gegen Sebelipase alfa getestet werden. Bei Patienten, die positiv auf ADA getestet wurden, sollte der Test alle 6 Monate wiederholt werden.

Der Inhaber der Zulassung bietet entsprechende Tests an, die von einem Zentrallabor durchgeführt werden. Für den Test stellt der Inhaber der Zulassung Test-Kits bereit. Diese enthalten die erforderlichen Abnahmeröhrchen (für eine Serumprobe) sowie die Antragsformulare und können bei der lokalen Vertretung des Inhabers der Zulassung unter [MedicalMetabolicsGer@alexion.com](mailto:MedicalMetabolicsGer@alexion.com), +49 (0) 89 45 70 91 300, Alexion Pharma Germany GmbH, Landsberger Straße 300, 80687 München, Deutschland bestellt werden.

Bitte beachten Sie, dass **für die Probenaufbereitung und -lagerung eine Zentrifuge und ein – 20 °C oder tiefer kühlender Gefrierschrank benötigt** werden. Falls Ihre Einrichtung diese Gerätschaften nicht besitzt, kontaktieren Sie bitte die lokale Vertretung des Inhabers der Zulassung unter [MedicalMetabolicsGer@alexion.com](mailto:MedicalMetabolicsGer@alexion.com), +49 (0) 89 45 70 91 300, Alexion Pharma Germany GmbH, Landsberger Straße 300, 80687 München, Deutschland.

Weitere Informationen zur Gewinnung, Vorbereitung und Versand der ADA-Proben enthält die Gebrauchsanleitung für Sebelipase alfa ADA-Test. Informationen können außerdem bei der lokalen Vertretung des Inhabers der Zulassung eingeholt werden.

Die Laborergebnisse werden dem Arzt über ein Online-Portal elektronisch zur Verfügung gestellt.

### C) ÜBEREMPFLINDLICHKEITSREAKTIONEN, EINSCHLIESSLICH ANAPHYLAXIE

Im Rahmen der klinischen Studien zu KANUMA traten Hypersensitivitätsreaktionen bei 21 von 106 (20%) Patienten und anaphylaktische Reaktionen bei drei von 106 (3%) der Patienten, die mit KANUMA behandelt wurden, auf. Die Häufigkeit dieser Reaktionen nahm mit zunehmender Behandlungsdauer ab, wurde aber auch noch ein Jahr nach Behandlungsbeginn beobachtet.

Zu den aufgetretenen Anzeichen und Symptomen von Hypersensitivitätsreaktionen/anaphylaktischen Reaktionen zählten:

- Beschwerden in der Brust, Dyspnoe, Tachypnoe, schwere Atemnot
- generalisierter und juckender Ausschlag, Urtikaria
- laryngeales Ödem und Ödem des Augenlides
- Tachykardie, Hypertonie
- Blässe, Schwäche
- Bauchschmerzen, Übelkeit, Diarrhoe, Erbrechen
- Unruhe, Schüttelfrost
- Pyrexie/erhöhte Körpertemperatur

Die Mehrzahl dieser Reaktionen trat während oder innerhalb von 4 Stunden nach dem Ende der Infusion auf.

#### Prävention und Behandlung von Überempfindlichkeitsreaktionen, einschließlich Anaphylaxie

1. Stellen Sie sicher, dass **adäquate medizinische Versorgung** inklusive benötigter Medikamente jederzeit verfügbar ist, wenn Sie Sebelipase alfa anwenden.
2. **Die Patienten sollen nach der Infusion eine Stunde lang überwacht werden**, um sie auf Anzeichen oder Symptome einer Anaphylaxie oder einer schweren Überempfindlichkeitsreaktion nach der ersten Sebelipase alfa-Infusion, einschließlich der ersten Infusion nach einer Dosissteigerung zu beobachten.
3. Falls während der Anwendung von Sebelipase alfa Anzeichen einer Hypersensitivitätsreaktion auftreten, kann die **Infusion nach Ermessen des Arztes verlangsamt oder abgesetzt werden**.
4. **Bei Anaphylaxie ist die Infusion sofort zu stoppen!** Belassen Sie die Kanüle für die Gabe von Arzneimitteln.
5. Starten Sie eine adäquate **medizinische Standardbehandlung** von Überempfindlichkeitsreaktionen, diese kann die Gabe von zusätzlichen Arzneimitteln erfordern, wie Antihistaminika, Antipyretika, Kortikosteroide.
6. Bei Patienten, die allergische Reaktionen während der Infusion hatten, ist **Vorsicht bei einer erneuten Gabe geboten**. Beginnen Sie mit einer niedrigeren Flussrate und steigern Sie sie dann bis zum Toleranzlimit des Patienten.
7. **Nach einer schweren Reaktion sollten insgesamt die Risiken und Vorteile** einer erneuten Verabreichung von Sebelipase alfa abgewogen werden.
8. **Ziehen Sie eine Vorbehandlung** mit Antipyretika und/oder Antihistaminika **in Betracht**, um Folgereaktionen in den Fällen zu verhindern, in denen bei vorhergehenden Infusionen eine symptomatische Behandlung erforderlich war.

## Meldung des Verdachts auf Nebenwirkungen ▼

Die Meldung des Verdachts auf Nebenwirkungen ist von großer Wichtigkeit. Sie ermöglicht eine kontinuierliche Überwachung des Nutzen-Risiko-Verhältnisses des Arzneimittels. Angehörige von Gesundheitsberufen sind aufgefordert, jeden Verdachtsfall einer Nebenwirkung über das nationale Meldesystem unter Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte, Abt. Pharmakovigilanz, Kurt-Georg-Kiesinger Allee 3, D-53175 Bonn, Website: <http://www.bfarm.de> und der lokalen Vertretung des Inhabers der Zulassung unter [pharmacovigilance.germany@alexion.com](mailto:pharmacovigilance.germany@alexion.com), Alexion Pharma Germany GmbH, Landsberger Straße 300, 80687 München, Deutschland anzuzeigen.

**Weitere Informationen zum Arzneimittel entnehmen Sie bitte der Fachinformation.**

