



Préparation, administration et surveillance de Myozyme

La première fois que vous recevrez Myozyme, vous vivrez probablement une expérience totalement nouvelle. Vous vous poserez certainement beaucoup de questions – et vous aurez raison. Après tout, vous n'aurez jamais vécu une telle chose auparavant. Vous pouvez par exemple vous demander : À quoi dois-je m'attendre ? À quoi ressemble Myozyme et comment pénètre-t-il dans mon organisme ? Et comment faire si je déteste les piqûres ? Combien de temps la perfusion dure-t-elle ? Que vais-je faire pendant le traitement ? Considérez cette brochure comme la première étape dans la recherche de réponses à vos questions sur le mode de préparation et d'administration de Myozyme, sur la façon dont le traitement se présente et sur les réactions éventuelles de votre organisme. Notez toutes les autres questions que vous souhaitez poser et discutez-en avec votre médecin avant le début de votre traitement.



Q Comment Myozyme est-il préparé?

R Myozyme est fourni dans un flacon en verre et est conservé au réfrigérateur avant utilisation. Il ressemble à une poudre blanche ou blanc cassé. Un pharmacien reconstitue (mélange) un flacon de Myozyme à la fois avec de l'eau stérile avant de l'administrer au patient. Une fois mélangé, Myozyme a l'aspect d'une solution transparente, incolore à jaune pâle (des

particules peuvent parfois être présentes dans la solution mélangée mais n'ont aucune influence sur l'efficacité du traitement). Afin d'éviter que les particules de protéine pénètrent dans votre organisme, il est nécessaire de placer un filtre entre la ligne de perfusion et votre organisme. Une fois que Myozyme a été mélangé, il ne reste stable et ne peut être administré au patient que pendant un laps de temps bref. L'opération de mélange peut prendre plusieurs heures, selon le nombre de flacons utilisés.

Autres noms de la maladie de Pompe

Déficit en alpha-glucosidase acide, déficit en maltase acide, glycogénose de type II et déficit en alpha-glucosidase lysosomale. Selon l'endroit du monde où vous vous trouvez, Pompe peut être prononcé « *pom-PÉ* », « *POM-peuh* » ou « *Pom-PI* ».

Q Comment Myozyme est-il administré?

R Après avoir été mélangé avec de l'eau, Myozyme est placé dans une poche de perfusion spéciale et est ensuite injecté par intraveineuse (dans le sang). Avant d'administrer Myozyme, votre infirmière ou votre médecin vous expliquera la procédure. Pendant la perfusion, vous serez surveillé attentivement afin de déceler toute réaction que vous pourriez développer pendant le traitement et d'intervenir si nécessaire. Il est possible que pendant la perfusion, une particule de protéine bouche le filtre. Dans un tel cas, la pompe à perfusion génère une alarme sonore et le filtre doit être remplacé.

À la fin de chaque séance de traitement, il est important que la ligne de perfusion soit « rincée » à l'aide d'une solution salée (une solution de chlorure de sodium dans de l'eau stérile) afin de garantir que la totalité de Myozyme est évacuée correctement du matériel et a été administrée.

La quantité de Myozyme que vous recevez dépend de votre poids corporel. La dose recommandée est de 20 mg/kg de poids corporel administrés toutes les 2 semaines. Lors de certaines études cliniques, les patients atteints de la maladie de Pompe ont reçu jusqu'à 40 mg/kg de poids corporel.

La procédure normale consiste à insérer la ligne de perfusion dans l'une de vos veines. Cette opération s'effectue simplement si vos veines sont bonnes et facilement accessibles.

Toutefois, certains patients ont de petites veines ou des veines difficilement accessibles. Les bébés et les enfants, en particulier, ont généralement de très petites veines. Pour ces patients, un port-a-cath ou un PICC line peut être une option.

Un port-a-cath est implanté sous votre peau. Il s'agit d'un petit dispositif qui vous permet de recevoir les perfusions sans piqûre. L'avantage est qu'il permet d'accéder facilement à vos veines. L'inconvénient de ce type de dispositif est qu'il augmente le risque d'infection par rapport à une perfusion intraveineuse classique.

Un PICC line est un long tube flexible fin appelé « cathéter ». Il est inséré dans l'une des grandes veines de votre bras, près du pli du coude. Il est ensuite enfoncé dans la veine jusqu'à ce que la pointe se trouve dans une grande veine juste au-dessus du cœur. Le PICC line peut être utilisé pour vous administrer votre traitement par Myozyme. Il peut également être utilisé pour prélever du sang. Le PICC line peut être laissé en place pendant plusieurs semaines ou plusieurs mois. Vous pouvez ainsi recevoir votre traitement sans qu'il soit nécessaire d'effectuer fréquemment des piqûres. L'inconvénient d'un PICC line est à nouveau le risque supérieur d'infections.

Si vos veines sont difficilement accessibles, il peut être utile de discuter de ces options avec votre médecin.

Q Et si j'ai de bonnes veines mais que j'ai peur des piqûres?

R Chacun réagit différemment à l'idée des piqûres. Vous n'êtes pas la seule personne à craindre les injections fréquentes. La chose importante à garder à l'esprit est que les professionnels de la santé sont là pour vous aider. Parlez-leur de vos inquiétudes avant le début de votre perfusion. Pour plus d'informations sur la façon de gérer votre peur des piqûres, vous pouvez télécharger la brochure intitulée « *Needle Fear* » sur le site de l'International Pompe Association à l'adresse : www.worldpompe.org/NeedleFear.pdf.

Q À quoi dois-je m'attendre pendant une perfusion de Myozyme?

R Votre séance de perfusion de Myozyme va généralement durer de 4 à 5 heures. Lorsque vous vous présentez en vue de votre première séance de traitement, votre spécialiste vous explique la procédure et prend note des informations médicales pertinentes vous concernant. Il se peut que vous deviez attendre un petit moment avant le début de votre perfusion, car Myozyme doit être utilisé peu de temps après avoir été mélangé. Lorsque Myozyme est prêt, vous serez branché à la ligne de perfusion qui sera elle-même connectée à une pompe électronique spéciale qui perfuse Myozyme dans votre organisme.

Pendant la séance de traitement, vous pouvez lire, regarder la télévision, faire des exercices ou simplement vous coucher et vous détendre. Les enfants peuvent jouer, lire ou regarder un film. Si nécessaire, vous pouvez vous rendre aux toilettes. Votre spécialiste vous surveillera à mesure que la perfusion progresse. Veillez à lui dire comment vous vous sentez et à lui faire part de vos inquiétudes.

Q Et si je développe une réaction pendant une perfusion?

R La majorité des effets secondaires pendant une perfusion de Myozyme ont été légers à modérés. Ces réactions comprennent des phénomènes tels que nausées, vomissements, maux de tête, toux et agitation. Si vous développez une réaction légère ou passagère, vous pourrez continuer la perfusion. Si la réaction est plus sévère, la perfusion peut être ralentie ou arrêtée immédiatement.

Certains patients ont reçu un antihistaminique oral ou un antipyrétique avant un traitement par perfusion. Cette approche a favorisé la maîtrise des réactions mineures.

Si vous vous sentez malade ou si vous avez de la fièvre avant votre traitement, il est important que vous le disiez à votre médecin ou à l'infirmière. Les effets secondaires peuvent apparaître plus rapidement si vous ne vous sentez pas bien.

Préparation, administration et surveillance de Myozyme (suite)

Bien entendu, comme avec tout traitement médical, il existe toujours un risque de réaction allergique. Si vous développez un effet indésirable grave, votre spécialiste arrêtera immédiatement la perfusion et vous administrera les soins médicaux appropriés.

Une assistance médicale appropriée doit être facilement accessible lors de l'administration de Myozyme. Pour plus d'informations détaillées sur les effets secondaires potentiels de Myozyme, consultez les sites suivants :

Si vous vivez aux États-Unis ou dans un autre pays hors d'Europe :

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

Si vous vivez en Europe :

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

(Afin de pouvoir lire ces informations en français, veuillez suivre les instructions reprises dans *Sources pour plus d'information de Treatment Edition* à la page 6)

Q Comment vais-je me sentir au cours des jours suivant la perfusion?

R Juste après la perfusion et au cours de la soirée, vous pourrez vous sentir fatigué. Après tout, passer toute une journée à l'hôpital peut vous rendre léthargique. Vous retrouverez votre énergie et vous vous sentirez beaucoup mieux après quelques jours. Certains patients restent actifs et dynamiques pendant toute la période entre deux perfusions. D'autres sentent leur énergie décliner avant la perfusion suivante. Chacun réagit différemment avant et après les perfusions.

Cette publication a pour but de diffuser des informations générales sur le sujet concerné et est distribuée à titre de service public par l'International Pompe Association, étant entendu que l'International Pompe Association ne propose aucun service médical ou professionnel. La science médicale évolue constamment. Les erreurs humaines et les changements dans la pratique ne permettent pas de garantir l'exactitude parfaite de matières aussi complexes. Ces informations doivent être confirmées par d'autres sources, principalement par votre médecin. Veuillez garder à l'esprit que l'efficacité de Myozyme varie d'une personne à l'autre.