



# PERFUSION À DOMICILE DE MYOZYME® (ALPHA ALGLUCOSIDASE)

## GUIDE À L'ATTENTION DES PROFESSIONNELS DE SANTÉ

**sanofi**

240419115035WV - 07/2025

Diffusé sous l'autorité de l'ANSM

VERSION N° 1.0, Juillet 2025

Ce document s'inscrit dans le cadre du plan de gestion des  
risques de Myozyme®

## TABLE DES MATIÈRES

<b>1</b>	<b>OBJECTIF DE CE DOCUMENT .....</b>	<b>3</b>
<b>2</b>	<b>INFORMATIONS DESTINEES AUX MÉDECINS PRESCRIPTEURS DE MYOZYME® (ALPHA ALGLUCOSIDASE) :.....</b>	<b>3</b>
2.1	EXIGENCES GÉNÉRALES POUR LA PERFUSION A DOMICILE.....	3
2.2	EXIGENCES ET ORGANISATION DE LA PERFUSION A DOMICILE.....	5
2.3	INFORMATIONS DU PATIENT/AIDANT .....	5
2.4	LE MEDECIN PRESCRIPTEUR DE MYOZYME® .....	6
<b>3</b>	<b>INFORMATIONS DESTINEES AUX PROFESSIONNELS DE SANTE ADMINISTRANT MYOZYME® (ALPHA ALGLUCOSIDASE) :.....</b>	<b>7</b>
3.1	L'INFIRMIER(-ERE) À DOMICILE .....	7
3.2	ADMINISTRATION DE MYOZYME® (ALPHA ALGLUCOSIDASE).....	9
3.2.1	Prescription.....	9
3.2.2	Organisations des soins .....	9
3.2.3	Matériel .....	10
3.2.4	Préparation .....	10
3.2.5	Reconstitution .....	11
3.2.6	Dilution.....	12
3.2.7	Administration .....	13
3.3	RECONNAISSANCE ET TRAITEMENT DES EFFETS INDESIRABLES .....	15
3.3.1	Reconnaissance des effets indésirables .....	15
3.3.2	Prise en charge clinique des effets indésirables .....	16
3.4	SIGNALEMENT DES ÉVÉNEMENTS INDESIRABLES .....	19
<b>4</b>	<b>REFERENCES .....</b>	<b>20</b>



Ce document ne remplace pas le guide d'information sur la sécurité d'emploi (GIS) destiné aux professionnels de santé et distribué dans le cadre du Plan de Gestion des Risques, auquel il convient de se référer pour plus d'informations sur la prise en charge médicale des risques associés à l'administration de Myozyme® (alpha alglucosidase).

## 1 OBJECTIF DE CE DOCUMENT

Ce document vise à réduire les risques importants d'erreurs médicamenteuses et de réactions associées à la perfusion (RAP), y compris les réactions d'hypersensibilité (dont anaphylactiques) lors de la perfusion à domicile et il fournit des conseils aux professionnels de santé pour la prise en charge des patients recevant Myozyme® (alglucosidase alfa) à domicile.

Myozyme® (alpha alglucosidase) est un traitement de 1<sup>ère</sup> intention des patients symptomatiques dont le diagnostic de maladie de Pompe a été confirmé. Afin d'améliorer le confort et la qualité de vie du patient, la perfusion peut être mise en place au domicile du patient si le patient est jugé éligible par le médecin prescripteur, à savoir, stable et ayant une bonne tolérance au traitement afin que celui-ci soit réalisé en toute sécurité, fiabilité et efficacité<sup>1,2,3,4</sup>. La décision de transférer la perfusion de Myozyme® (alpha alglucosidase) au domicile du patient est prise par le médecin prescripteur en concertation avec le patient et/ou aidant(s).

La perfusion à domicile est sous la responsabilité du médecin prescripteur, qui devra s'assurer d'une administration sécurisée et remettre au patient le matériel pédagogique visant à réduire les risques d'erreurs médicamenteuses et de RAP qui lui est destiné.

## 2 INFORMATIONS DESTINEES AUX MEDECINS PRESCRIPTEURS DE MYOZYME® (ALPHA ALGLUCOSIDASE)

### 2.1 EXIGENCES GÉNÉRALES POUR LA PERFUSION A DOMICILE

Avant de prendre des dispositions pour la mise en place de la perfusion de Myozyme® (alpha alglucosidase) à domicile, le médecin prescripteur prend en compte les considérations suivantes :

- La perfusion à domicile doit être effectuée par un(e) infirmier(-ère) qui doit être disponible et joignable à tout moment pendant la durée de la perfusion à domicile et après la perfusion pendant une durée déterminée par le prescripteur.
- Une personne formée pour agir en cas de RAP (infirmier ou aidant) doit être présente en continu durant toute la durée de la perfusion et de la surveillance post-perfusion.



- Après une évaluation médicale complète, l'état du patient est jugé stable pour recevoir les perfusions à domicile.
- Les comorbidités sous-jacentes du patient et sa capacité à respecter les exigences de la perfusion à domicile doivent être prises en compte lors de l'évaluation de l'éligibilité du patient à recevoir la perfusion à domicile.
- Le patient ne doit pas présenter un état pathologique avancé qui l'exposerait à un risque plus élevé de complications nécessitant des mesures de réanimation médicale uniquement disponibles en milieu hospitalier.
- Le patient tolère bien la perfusion en milieu hospitalier ou ambulatoire et n'a pas d'antécédents de RAP modérée à sévère depuis plusieurs mois.
- Le patient doit disposer d'un accès veineux périphérique ou d'un dispositif d'accès veineux central permettant une perfusion adéquate.
- Le patient doit être disposé et capable de se conformer au protocole de perfusion à domicile.
- Un environnement propice (notamment, un réfrigérateur avec un espace dédié pour conserver les flacons et un espace dédié pour stocker le matériel de perfusion), des ressources et des protocoles pour les perfusions à domicile, y compris la formation, doivent être établies et disponibles pour l'infirmier (-ère) à domicile.
- Si le patient présente des effets indésirables pendant la perfusion à domicile, la perfusion doit être arrêtée immédiatement et un traitement médical approprié doit être instauré selon la prescription du médecin prescripteur.
- Dans le cas où le patient a présenté des effets indésirables pendant la perfusion à domicile, les perfusions suivantes devront avoir lieu dans un hôpital ou dans un autre établissement approprié aux soins ambulatoires. La perfusion à domicile pourra être réinstaurée si aucun effet indésirable ne se reproduit et avec l'accord du médecin prescripteur.
- La dose, les paliers et les débits de perfusion ne doivent pas être modifiés sans consulter le médecin prescripteur.

## 2.2 EXIGENCES ET ORGANISATION DE LA PERFUSION A DOMICILE

Le médecin prescripteur est responsable de l'organisation de la perfusion à domicile. Il doit établir le protocole de perfusion précisant la prémédication éventuelle, la durée de perfusion, la dose, les débits et paliers de perfusion et la durée de surveillance après la fin de la perfusion, qui devra être respecté et ne pas être modifié sans sa supervision.

L'infirmier(-ère) à domicile effectuera l'intégralité des tâches du protocole pour les perfusions au domicile du patient.

En principe, les instructions initiales et la formation de l'infirmier(-ère) à domicile pour la perfusion seront fournies par l'établissement de santé (hôpital). Le niveau d'assistance requis de la part de l'infirmier(-ère) à domicile sera discuté et convenu entre le médecin prescripteur et le patient et/ou aidant(s).

## 2.3 INFORMATIONS DU PATIENT/AIDANT

- Le patient et/ou aidants(s) ont reçu par le médecin prescripteur les informations nécessaires sur le traitement qui sera administré à domicile, sur les risques auxquels il est associé (réactions d'hypersensibilité et erreurs médicamenteuses) et sur l'assistance médicale mise à disposition. Le patient et/ou le ou les aidant(s) doivent consentir à l'administration à domicile de ce traitement.
- Le médecin prescripteur remet au patient/aidant le guide du patient et/ou aidant(s) qui comprend des informations sur l'organisation de la perfusion à domicile, les signes et les symptômes des RAP et les actions recommandées pour sa prise en charge.
- Le carnet de liaison des perfusions doit être remis au patient/aidant pour consigner les détails de chaque perfusion et documenter tout effet indésirable et toute RAP, y compris les réactions d'hypersensibilité de type allergique avant, pendant ou après la perfusion. Lors de la remise du carnet, les coordonnées du médecin prescripteur, le protocole de traitement et la conduite à tenir en cas de RAP doivent être renseignés par le médecin prescripteur. Ce carnet de liaison doit être rempli par l'infirmier(-ère) et éventuellement complété par le patient et/ou aidant(s) à chaque perfusion, conservé par le patient et présenté au médecin prescripteur lors des visites de suivi régulières. Les instructions pour le signalement des effets indésirables par le patient/aidant sont également indiquées dans le guide du patient/aidant.



## 2.4 LE MEDECIN PRESCRIPTEUR DE MYOZYME®

Le médecin prescripteur est responsable de l'initiation de toutes les actions administratives nécessaires qui permettront aux autres parties prenantes impliquées (patient et/ou aidant(s), prestataire de santé, infirmier(-ère) à domicile, pharmacie) d'agir. Il est de la responsabilité du médecin prescripteur de garantir une administration en toute sécurité au patient afin d'éviter les risques d'erreurs médicamenteuses et de limiter le risque de RAP, en particulier les réactions d'hypersensibilité lors de la perfusion.

- Le médecin prescripteur a informé le patient et/ou aidant(s), sur le traitement et le protocole de perfusion à domicile ainsi que de la conduite à tenir en cas de RAP, comme indiqué dans la section « 3.3 ».
- Le médecin prescripteur est responsable de la prescription de la dose et des paliers de débit de perfusion et de la conduite à tenir en cas de RAP. Le protocole de perfusion de Myozyme® (alpha alglucosidase) précédemment toléré par le patient en milieu hospitalier ou ambulatoire ne doit pas être modifié à domicile, sauf si cela est nécessaire pour des raisons de sécurité. Toute modification de la prescription (dose ou débits de perfusion) doit être documentée.
- Le médecin prescripteur est chargé d'autoriser les autres parties prenantes (patient et/ou aidant(s), prestataire de santé, infirmier(-ère) à domicile, pharmacie, etc.) à agir et de discuter avec le patient et/ou aidant du niveau d'assistance à fournir au domicile.
- La perfusion à domicile aura lieu sous la responsabilité du médecin prescripteur. La distribution du matériel pédagogique ne doit être effectuée que si la décision conjointe du médecin prescripteur et du patient éligible/aidant a été prise de recevoir la perfusion à domicile. L'infirmier(-ère) doit informer immédiatement le médecin prescripteur en cas de RAP ou d'hypersensibilité.
- Le médecin prescripteur prescrit le médicament, y compris tout l'équipement nécessaire pour l'administration de Myozyme® (alpha alglucosidase) à domicile.

- Une prescription spécifique de prémédication (par exemple : antihistaminiques, paracétamol, ibuprofène, corticoïdes), doit être remise au patient si ce dernier en recevait une en milieu hospitalier ou dans un autre établissement approprié aux soins ambulatoires. La prémédication devra rester inchangée lors du passage à domicile sauf, si pour des raisons médicales le médecin prescripteur décide de la modifier.
- Un traitement d'urgence devra être disponible et fourni sur la base d'une prescription spécifique au patient en cas de RAP. Des instructions et un plan d'urgence documenté doivent être donnés à l'infirmier(-ère) (via le carnet de liaison du patient) avant la mise en place de la perfusion à domicile. En outre, un traitement d'urgence devra être disponible et fourni sur la base d'une prescription spécifique au patient en cas de survenue de réactions graves/sévères à la perfusion. Le médecin prescripteur s'assurera de l'existence d'un moyen de communication rapide et fiable afin de répondre en urgence si un avis médical immédiat s'avérait nécessaire.
- En cas d'effets indésirables, le patient, l'aidant ou l'infirmier(-ère) doivent contacter immédiatement le médecin prescripteur. Des effets indésirables peuvent survenir pendant la perfusion ou au cours des heures qui suivent. Selon l'avis du médecin prescripteur, les perfusions suivantes devront possiblement avoir lieu dans un hôpital ou dans un autre établissement approprié aux soins ambulatoires jusqu'à disparition des effets indésirables. Le calendrier et le suivi régulier des perfusions à domicile du patient relèvent de la responsabilité du médecin prescripteur et de l'infirmier(-ère) à domicile.

## 3 INFORMATIONS DESTINEES AUX PROFESSIONNELS DE SANTE ADMINISTRANT MYOZYME® (ALPHA ALGLUCOSIDASE) :

### 3.1 L'INFIRMIER(-ERE)

L'infirmier(-ère) à domicile et/ou le prestataire de santé ont un rôle de coordination entre le médecin prescripteur et le patient et/ou aidant(s) dans l'organisation du traitement à domicile. Il/elle établira avec le médecin prescripteur et le patient et/ou aidant(s) le niveau d'assistance requis pour l'administration du traitement.



- L'infirmier(-ère) est qualifié(e) pour administrer des perfusions intraveineuses et a reçu une formation appropriée sur la maladie de Pompe, l'administration de Myozyme® (alpha alglucosidase) et la reconnaissance des RAP susceptibles de survenir (y compris les événements indésirables graves tels que les réactions anaphylactiques) et aux actions à mettre en œuvre pour gérer les événements indésirables.
- Avant la perfusion, l'infirmier(-ère) évaluera l'état général du patient afin de détecter toute affection susceptible d'interférer avec la perfusion. Toute anomalie doit être notée dans le carnet de liaison. Si le patient souffre de maladie en phase aiguë, le médecin prescripteur doit être consulté avant de procéder à la perfusion.
- L'infirmier(-ère) vérifie la présence ainsi que les dates de péremptions d'une prémédication, d'un traitement d'urgence et du matériel prescrit. Il/elle suivra strictement le protocole de préparation et d'administration de Myozyme® (alpha alglucosidase) et surveillera la perfusion, comme prescrit par le médecin.
- L'infirmier(-ère) ne modifie pas la dose de Myozyme® et le protocole de perfusion (débit, durée et étapes de la perfusion) de Myozyme® (alpha alglucosidase) prescrit par le médecin prescripteur, sauf si cela est nécessaire pour des raisons de sécurité.
- L'infirmier(-ère) documente chaque perfusion de Myozyme® (alpha alglucosidase) dans le carnet de liaison et les partage régulièrement avec le médecin prescripteur, comme convenu avec celui-ci.
- La planification et la surveillance appropriées des perfusions relèvent de la responsabilité du médecin prescripteur et de l'infirmier(-ère), en accord avec le patient ou l'aidant du patient.
- En cas de survenue d'un événement indésirable, tel que des RAP, des réactions d'hypersensibilité, des erreurs médicamenteuses pendant ou après la perfusion à domicile, l'infirmier(-ère) doit suivre les mesures d'urgence spécifiques au patient fournies par le médecin prescripteur dans un plan d'urgence. Cela peut nécessiter une interruption temporaire ou complète de la perfusion.

- En cas d'effets indésirables, l'infirmier(-ère) contacte immédiatement le médecin prescripteur et/ou appelle le numéro national d'urgence (15 ou 112). L'infirmier(-ère) documente l'effet indésirable dans le carnet de liaison et signale tout événement indésirable, y compris les erreurs médicamenteuses survenues lors de la perfusion à domicile.

### 3.2 ADMINISTRATION DE MYOZYME® (ALPHA ALGLUCOSIDASE)

#### 3.2.1 Prescription

La dose de Myozyme® (alpha alglucosidase) à administrer, le volume nécessaire à la reconstitution, le volume de perfusion, les débits de perfusion, la prémédication, le médicament d'urgence, ainsi que tout changement seront déterminés par le médecin prescripteur. Toute modification de la prescription (dose ou débits de perfusion) doit être documentée.

Étant donné que Myozyme® (alpha alglucosidase) est prescrit à une posologie dépendante du poids corporel, il est important de surveiller régulièrement le poids du patient pour s'assurer que la dose administrée est correcte. Le médecin prescripteur détermine comment procéder en cas de changement de poids corporel.

#### 3.2.2 Organisations des soins

- Les médicaments et le matériel nécessaires à la préparation, la pose et l'administration du traitement à domicile seront fournis sur prescription appropriée, généralement par :
  - la pharmacie hospitalière pour le traitement Myozyme®,
  - le prestataire de santé pour le filtre à 0,2 µm à faible fixation protéinique, des aiguilles de 20 ou 21G, un système actif pour l'administration du traitement (pompe à perfusion) et le matériel de perfusion.
- L'officine de ville fournit les médicaments autres que l'enzymothérapie y compris l'eau pour préparations injectables (EPI), les solutions injectables pour perfusion et les antiseptiques. Elle peut aussi fournir le matériel nécessaire à la perfusion.



### 3.2.3 Matériel

Le médicament et le matériel suivant seront fournis à l'infirmier(-ère) à domicile sur ordonnance appropriée du médecin prescripteur.

- Flacons avec Myozyme® (alpha alglucosidase), poudre pour solution à diluer pour perfusion (50 mg par flacon) ; doivent être conservés dans un réfrigérateur propre à une température comprise entre +2 °C et +8 °C (tenir compte du nombre de flacons nécessaires en fonction du poids corporel du patient)
- Eau PPI pour reconstituer Myozyme® (alpha alglucosidase) (10,3 ml par flacon)
- Solution de NaCl à 0,9 % pour administration intraveineuse
- Solution de NaCl à 0,9 % pour le rinçage de la ligne de perfusion
- Solution antiseptique
- Nombre approprié de seringues de 10 ml, 20 ml et 50 ml en fonction de la dose de Myozyme® (alpha alglucosidase)
- Aiguilles hypodermiques stériles (calibre 20G ou 21G). Prévoir 2 aiguilles pour 4 flacons
- Filtre en ligne de 0,2 µm à faible fixation protéique
- Matériel pour l'installation d'une voie veineuse périphérique ou le branchement d'une voie veineuse centrale
- Matériel nécessaire pour la perfusion intraveineuse respectant les conditions d'hygiène et d'asepsie ainsi que les règles d'élimination des déchets
- Système actif pour l'administration du traitement (pompe à perfusion)
- Prémédication (le cas échéant)
- Traitement d'urgence

### 3.2.4 Préparation

Avant de commencer la préparation de Myozyme® (alpha alglucosidase), l'infirmier(-ère) doit évaluer l'état médical du patient, y compris les signes vitaux et les signes de fièvre

ou d'infection. Les patients atteints d'une maladie sous-jacente aiguë, y compris une infection respiratoire susceptible d'entraîner une détresse respiratoire au moment de la perfusion de Myozyme® (alpha alglucosidase) qui peuvent présenter un risque accru de RAP, ne doivent pas recevoir la perfusion. Le traitement pourra être repris lorsque le patient s'est complètement rétabli et à la discrétion du médecin prescripteur.

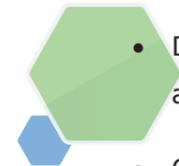
**Avant la reconstitution, il est également recommandé d'installer une voie veineuse (cathéter veineux périphérique) ou de connecter la voie veineuse centrale du patient, pour s'assurer que Myozyme® (alpha alglucosidase) puisse être administré immédiatement après sa reconstitution.**

- L'infirmier(-ère) doit s'assurer que les flacons atteignent la température ambiante avant de préparer la solution pour perfusion, ce qui peut être fait lors de la mise en place de la ligne intraveineuse. Les flacons doivent être retirés du réfrigérateur et mis de côté pendant environ 30 minutes pour leur permettre d'atteindre la température ambiante.
- Vérifiez si le nombre de flacons est approprié.
- Vérifier que les flacons ne présentent pas de décolorations, de particules étrangères. Vérifier la date de péremption mentionnée en bas de la boîte de chaque flacon. Ne pas utiliser les flacons si la date d'utilisation est expirée.

### 3.2.5 Reconstitution

*La reconstitution est à réaliser dans des conditions aseptiques.*

- Retirer le capuchon amovible du flacon de Myozyme® (alpha alglucosidase).
- Désinfecter le bouchon en caoutchouc du flacon de Myozyme® (alpha alglucosidase) avec de la chlorhexidine et laisser sécher à l'air libre.
- Ouvrir l'eau stérile pour préparations injectables.
- Prélever la quantité requise (ml) d'EPPI dans la seringue munie d'une aiguille de 20 ou 21G.





pour préparations injectables dans chaque flacon. Chaque flacon donnera 50 mg/10 ml (5 mg/ml).

- Éviter l'impact fort de l'EPPI sur la poudre et la mousse. Cela est effectué par un ajout lent au goutte à goutte de l'EPPI le long de la paroi intérieure du flacon et non directement sur la poudre lyophilisée.
- Chaque flacon doit être incliné et roulé doucement pour dissoudre la poudre lyophilisée. Il ne doit pas être retourné, tourné ou secoué.
- De petites bulles peuvent apparaître après le mélange. Laisser la solution reposer pendant 10 à 20 minutes pour permettre à toutes les bulles présentes de disparaître et pour s'assurer que la poudre est correctement reconstituée.
- Répéter le processus pour tous les flacons de Myozyme® (alpha alglucosidase).
- Afin de limiter le risque d'endommager le capuchon, les aiguilles doivent être changées tous les 4 flacons.
- Une inspection visuelle immédiate doit être effectuée sur les flacons reconstitués pour détecter la présence éventuelle de particules et de décoloration. Le concentré reconstitué doit se présenter sous la forme d'une solution limpide, incolore à jaune pâle, qui peut contenir des particules sous forme de fines fibres blanches ou de fibres translucides. Si, après inspection immédiate, des particules étrangères autres que celles décrites ci-dessus sont observées, ou si la solution présente une coloration anormale, ne pas utiliser.
- Il est recommandé de diluer Myozyme® (alpha alglucosidase) immédiatement après reconstitution.

### 3.2.6 Dilution

La solution reconstituée doit être diluée dans du NaCl à 0,9 % *dans des conditions aseptiques*. Voir Tableau 1 pour les volumes de perfusion correspondant au poids corporel du patient.

- Préparer la poche de NaCl.

- Insérer l'aiguille dans le capuchon de la poche de perfusion. Retirer l'air de la poche de perfusion.
- Puis prélever un volume de solution de NaCl à 0,9 %, équivalent au volume de solution de Myozyme® reconstituée à ajouter. Cela correspond à 1 ml pour 5 mg de Myozyme® prescrit.
  - *Par exemple, si la dose prescrite est de 1 200 mg pour un patient de 60 kg, le volume de Myozyme® à diluer est de  $1\ 200\ \text{mg} / 5\ \text{mg/ml} = 240\ \text{ml}$ . Par conséquent, 240 ml doivent être retirés de la poche de solution de NaCl à 0,9 %.*
- Prélever lentement 10 ml (correspondant à 50 mg) de chaque flacon de solution de Myozyme® reconstituée dans une seringue munie d'une aiguille de 20 ou 21G. Changer d'aiguille tous les 4 flacons.
- La solution reconstituée doit être ajoutée lentement et directement dans la solution de NaCl à 0,9 %. La mousse ou l'agitation de la poche de perfusion doit être évitée. L'introduction d'air dans la poche de perfusion doit être évitée.
  - *Dans l'exemple décrit ci-dessus, 240 ml de Myozyme® reconstitué seront ajoutés à la poche de perfusion.*
- Mélanger la solution de la poche de perfusion en retournant ou en massant délicatement la poche de perfusion. Elle ne doit pas être secouée.
- Protéger la poche de perfusion de toute chaleur ou vibration et l'administrer immédiatement après dilution.
- Après dilution, une utilisation immédiate est recommandée. Cependant, la stabilité physico-chimique de la solution diluée a été démontrée pendant 24 heures à une température comprise entre 2 et 8 °C lorsque le produit est conservé à l'abri de la lumière.

### 3.2.7 Administration

**Afin d'assurer un contrôle optimal du débit, il est recommandé d'administrer le traitement à l'aide d'un système actif (pompe à perfusion).**



- Une fois que Myozyme® (alpha alglucosidase) a été dilué, fixer la tubulure à la poche de perfusion et éliminer l'air résiduel.
- Connecter un filtre en ligne de 0,2 µm à faible fixation protéique à la tubulure de perfusion.

*Cette étape évite l'administration de particules introduites par inadvertance pendant la préparation.*

- Amorcer la ligne de perfusion avec la solution diluée de Myozyme® et connecter la ligne de perfusion à la voie veineuse du patient.
- Avant de commencer la perfusion, vérifier le pouls du patient, sa tension artérielle, sa fréquence respiratoire et sa température corporelle.
- Le débit de perfusion initial ne doit pas être supérieur à 1 mg/kg de poids corporel/heure pour minimiser le risque de RAP. Si la perfusion est bien tolérée, augmenter le débit de perfusion par paliers (de 2 mg/kg de poids corporel/heure) toutes les 30 minutes jusqu'à un débit maximum de 7 mg/kg de poids corporel/heure (voir Tableau 1 pour plus de détails).
- Une fois la perfusion terminée, la ligne de perfusion doit être rincée avec une solution de NaCl à 0,9 % au même débit pour administrer toute la dose de Myozyme® (alpha alglucosidase).
- Débrancher la ligne de perfusion du trajet veineux du patient, déconnecter la voie d'abord selon le protocole prescrit. Les produits non utilisés ou les déchets doivent être détruits conformément aux réglementations locales.
- Myozyme® ne doit pas être perfusé dans la même ligne intraveineuse que d'autres médicaments.

La perfusion et toutes les observations doivent être documentées dans le carnet de liaison.

Tableau 1: Volumes de perfusion et augmentation progressive du débit de perfusion.

POIDS CORPOREL DU PATIENT (kg)	VOLUME TOTAL DE PERFUSION (ml)	ÉTAPE 1	ÉTAPE 2	ÉTAPE 3	ÉTAPE 4
		1 mg/kg/h	3 mg/kg/h	5 mg/kg/h	7 mg/kg/h
1.25-10	50	3 ml/h	8 ml/h	13 ml/h	18 ml/h
10.1-20	100	5 ml/h	15 ml/h	25 ml/h	35 ml/h
20.1-30	150	8 ml/h	23 ml/h	38 ml/h	53 ml/h
30.1-35	200	10 ml/h	30 ml/h	50 ml/h	70 ml/h
35.1-50	250	13 ml/h	38 ml/h	63 ml/h	88 ml/h
50.1-60	300	15 ml/h	45 ml/h	75 ml/h	105 ml/h
60.1-100	500	25 ml/h	75 ml/h	125 ml/h	175 ml/h
100.1-120	600	30 ml/h	90 ml/h	150 ml/h	210 ml/h

**Remarque :** Les patients présentant une altération de la fonction cardiaque et/ou respiratoire présentent un risque de surcharge volumique liée à la perfusion qui peut entraîner une détérioration sévère de l'état cardiaque et/ou respiratoire au point d'insuffisance cardiorespiratoire. L'augmentation progressive du débit de perfusion est effectuée toutes les 30 minutes et ne peut être envisagée qu'en l'absence de réactions associées à la perfusion. Le débit de perfusion est donné en ml/h en fonction du volume de perfusion total. Suivez les recommandations du médecin prescripteur concernant le débit et le volume de perfusion. Pour calculer le changement des unités du débit, la formule suivante a été utilisée :

$$\text{Débit de perfusion (ml/h)} = \frac{\text{Débit de perfusion (mg/kg/h)} \times \text{Volume de perfusion (ml)}}{\text{Dose de Myozyme (mg/kg)}}$$

### 3.3 RECONNAISSANCE ET TRAITEMENT DES EFFETS INDESIRABLES

#### 3.3.1 Reconnaissance des effets indésirables

Les événements indésirables les plus fréquemment rapportés sont les réactions associées à la perfusion (RAP).

Une RAP est définie comme tout événement indésirable (EI) survenant pendant la perfusion ou au cours des heures qui suivent et évalué comme potentiellement relié à l'administration du produit (Myozyme®). Les RAP sont plus probables aux débits de perfusion les plus élevés.

La majorité des RAP ont été évaluées comme légères à modérées. Cependant, certains patients ont développé des réactions d'hypersensibilité, y compris un choc anaphylactique et/ou un arrêt cardiaque, qui nécessitent des mesures de réanimation



pendant la perfusion de Myozyme®. Les réactions se sont généralement produites peu de temps après le début de la perfusion. Les RAP qui ont été rapportées, comprenaient : cyanose, tachycardie, palpitations, hypoxie, dyspnée, toux, sensations vertigineuses, céphalées, dysgueusie, hypertension, bouffée congestive, œdème de la langue, vomissement, diarrhée, nausées, douleur thoracique, gêne thoracique, sensation de gorge serrée, fièvre, frissons, sensation de froid, érythème au site de perfusion, myalgie et érythème.

Veillez consulter la section 4 du RCP pour obtenir des informations complètes sur la sécurité de Myozyme® (alpha alglucosidase).

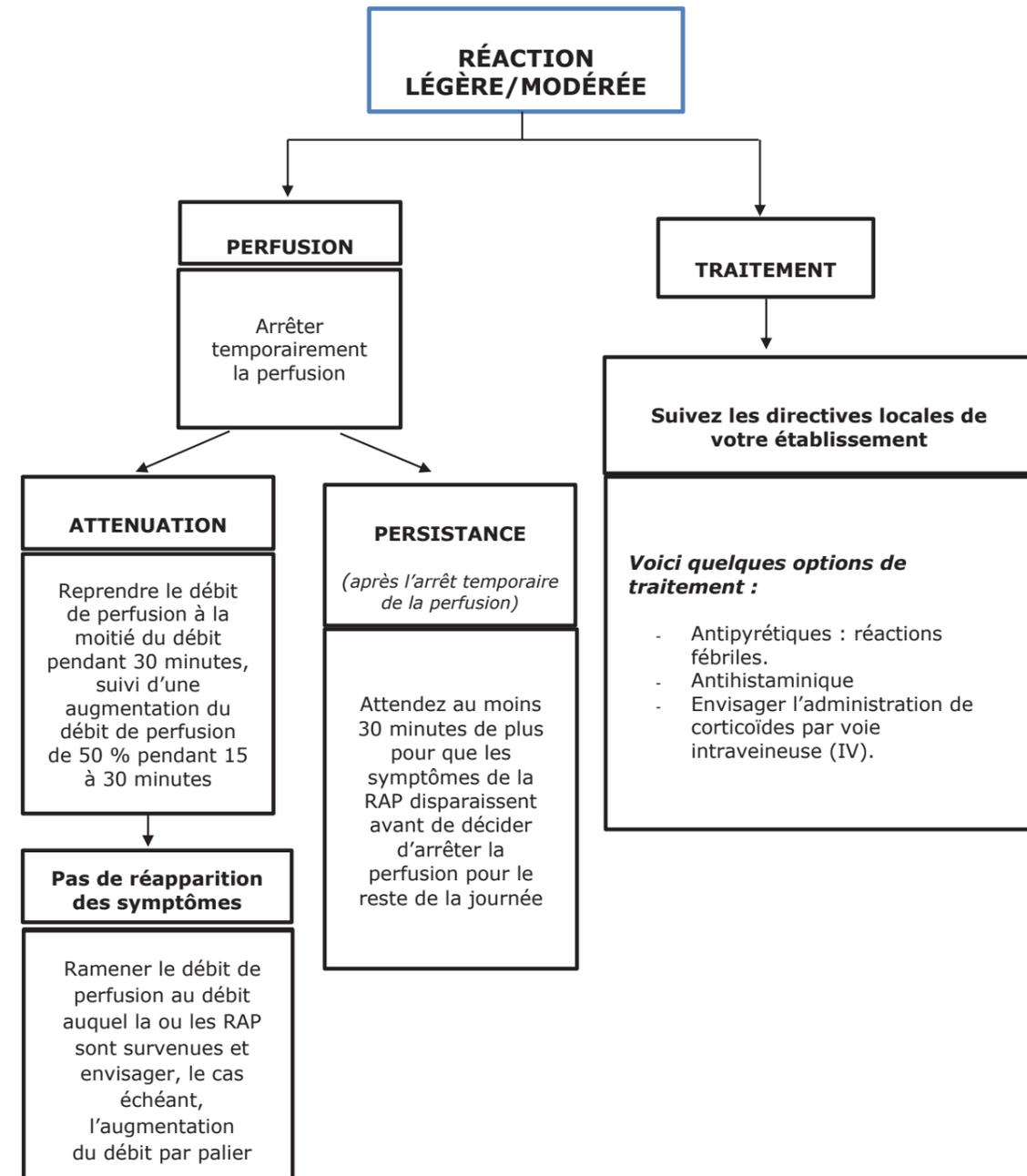
### 3.3.2 Prise en charge clinique des effets indésirables

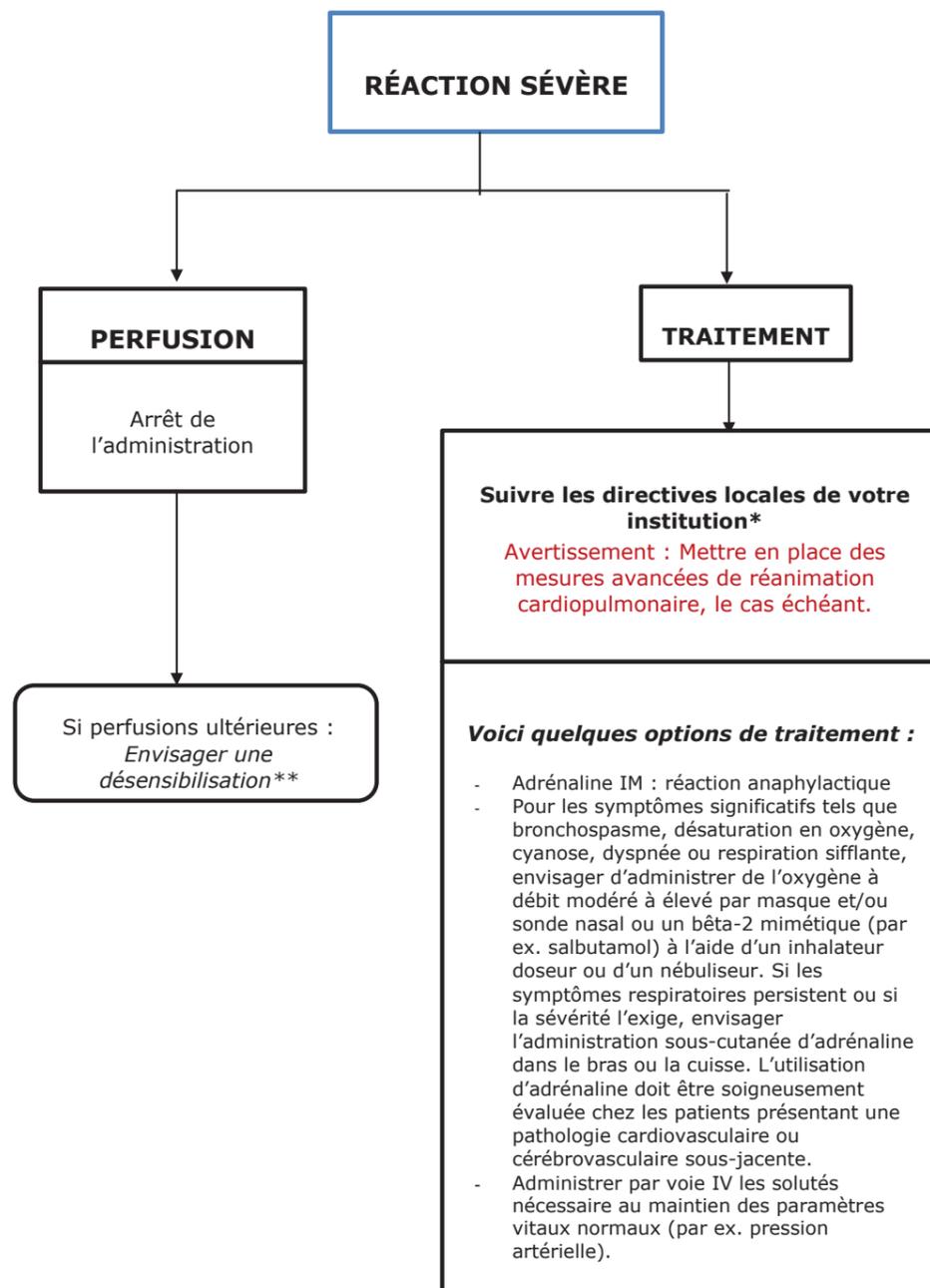
Des mesures appropriées pour le soutien et la surveillance d'urgence, telles que déterminées par le médecin prescripteur, doivent être mise en place conformément au plan d'urgence individuel du patient.

Si le patient présente une/des RAP, y compris des réactions d'hypersensibilité et anaphylactiques pendant la perfusion à domicile, la perfusion doit être interrompue immédiatement mais l'accès veineux ne doit pas être retiré, et les mesures indiquées dans le plan d'urgence individuel doivent être suivies en fonction de la gravité de la RAP, c'est-à-dire, interrompre temporairement ou complètement, et instaurer un traitement médical approprié si nécessaire.

Veillez consulter les [Figure 1](#) et [Figure 2](#) pour une prise en charge clinique appropriée des effets indésirables légers/modérés ou sévères.

Figure 1: Prise en charge clinique des réactions légères à modérées.





\*Les contre-indications doivent toujours être évaluées en fonction des bénéfices ou de la nécessité d'utiliser l'adrénaline comme mesure susceptible de sauver des vies en cas de réactions anaphylactiques mettant en jeu le pronostic vital.

\*\* Contacter le service Pharmacovigilance de Sanofi pour obtenir des directives pour la désensibilisation.

### 3.4 SIGNALEMENT DES ÉVÉNEMENTS INDESIRABLES

Déclarez immédiatement tout effet indésirable suspecté d'être dû à un médicament auprès de votre Centre Régional de Pharmacovigilance ou sur <https://signalement.social-sante.gouv.fr>

Par ailleurs, nous vous invitons à signaler également tout effet indésirable survenu durant l'utilisation de Myozyme® (alpha alglucosidase) au Service de Pharmacovigilance de Sanofi en nous contactant :

Vous pouvez également contacter Sanofi :

**sanofi**

Sanofi Winthrop Industrie - S.A. au capital de 463.631.520 euros - RCS Créteil 775 662 257  
82 Avenue Raspail- 94250 Gentilly

Pour contacter l'information médicale :

Par internet : <https://www.sanofimedicalinformation.com>

Par téléphone du lundi au vendredi, de 9h à 18h aux numéros suivants :

Depuis la métropole : **0 800 394 000** Service & appel gratuits

Depuis les DROM-COM : **0 800 626 626** Service & appel gratuits

**Si le patient se rend compte qu'une erreur a été commise lors de la préparation et/ou de l'administration du médicament, lui ou l'infirmier(-ère) à domicile devra en informer le médecin prescripteur afin que celui-ci détermine ce qu'il convient de faire. Toute erreur médicamenteuse fera, de la part du médecin prescripteur, l'objet d'une notification spontanée au Service de Pharmacovigilance de Sanofi.**

Veuillez consulter le Résumé des Caractéristiques du Produit sur la base de données publique des médicaments [Accueil - Base de données publique des médicaments \(medicaments.gouv.fr\)](#) ou sur le site de l'Agence européenne des médicaments: <https://www.ema.europa.eu> pour obtenir des indications complètes et des informations supplémentaires sur l'utilisation approuvée de Myozyme® (alpha alglucosidase).



#### 4 REFERENCES

1. Myozyme® SmPC:  
[https://www.ema.europa.eu/en/documents/productinformation/myozyme-epar-product-information\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/productinformation/myozyme-epar-product-information_en.pdf)
2. Ditters IAM, van der Beek NAME, Brusse E, van der Ploeg AT, van den Hout JMP, Huidekoper HH. Home-based enzyme replacement therapy in children and adults with Pompe disease; a prospective study. *Orphanet J Rare Dis.* 2023 May 8;18(1):108.
3. Fiumara A, Lanzafame G, Sapuppo A, Arena A, Cirnigliaro L, Barone R. Positive Impact of Home ERT for Mucopolysaccharidoses and Pompe Disease: The Lesson Learnt from the COVID-19 Pandemic. *Healthcare (Basel).* 2023 Apr 19;11(8):1176.
4. Heinrich R, Claus F, Schoenfelder T. The patients` perspective on home-based infusion: A longitudinal observational study in the German healthcare setting for patients with lysosomal storage disorders treated with enzyme replacement therapy. *Mol Genet Metab Rep.* 2023 Mar 29;35:100971.

