B. FOGLIO ILLUSTRATIVO

Agenzia Italiana del Farmaco

Documento reso disponibile da AIFA il 19/10/2021

Esula dalla competenza dell'AIFA ogni eventuale disputa concernente i diritti di proprietà industriale e la tutela brevettuale dei dati relativi all'AIC dei medicinali e, pertanto, l'Agenzia non può essere ritenuta responsabile in alcun modo di eventuali violazioni da parte del titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio (o titolare AIC).

Foglio illustrativo: informazioni per l'utilizzatore

Mepsevii 2 mg/mL concentrato per soluzione per infusione
vestronidasi alfa

▼Medicinale sottoposto a monitoraggio addizionale. Ciò permetterà la rapida identificazione di nuove informazioni sulla sicurezza. Lei può contribuire segnalando qualsiasi effetto indesiderato riscontrato durante l'assunzione di questo medicinale. Vedere la fine del paragrafo 4 per le informazioni su come segnalare gli effetti indesiderati.

Legga attentamente questo foglio prima di prendere questo medicinale perché contiene importanti informazioni per lei.
- Conservi questo foglio. Potrebbe aver bisogno di leggerlo di nuovo.
- Se ha qualsiasi dubbio, si rivolga al medico.
- Questo medicinale è stato prescritto soltanto per lei. Non lo dia ad altre persone, anche se i sintomi della malattia sono uguali ai suoi, perché potrebbe essere pericoloso.
- Se si manifesta un qualsiasi effetto indesiderato, compresi quelli non elencati in questo foglio, si rivolga al medico. Ciò include qualsiasi effetto indesiderato possibile non elencato in questo foglio illustrativo (vedere il paragrafo 4).

Contenuto di questo foglio

1. Cos'è Mepsevii e a cosa serve
2. Cosa deve sapere prima di prendere Mepsevii
3. Come prendere Mepsevii
4. Possibili effetti indesiderati
5. Come conservare Mepsevii
6. Contenuto della confezione e altre informazioni

1. Cosa è Mepsevii e a cosa serve

Cos'è Mepsevii
Mepsevii contiene un enzima chiamato vestronidasi alfa. Appartiene ad un gruppo di medicinali chiamati terapie di sostituzione enzimatica. È utilizzato in adulti e bambini di tutte le età affetti da MPS VII per curare manifestazioni non neurologiche della malattia (mucopolisaccaridosi di tipo VII, conosciuta anche come sindrome di Sly).

Cos'è la MPS VII
La MPS VII è una malattia ereditaria, a causa della quale l'organismo non produce abbastanza enzima denominato beta-glucuronidasi.
- Questo enzima aiuta a disintegrare gli zuccheri nell'organismo chiamati mucopolisaccaridi.
- I mucopolisaccaridi sono prodotti nell'organismo e aiutano a sviluppare ossa, cartilagini, pelle e tendini.
- Questi zuccheri vengono rimessi in ciclo di continuo - ne vengono prodotti di nuovi e quelli vecchi vengono scomposti.
- Senza una quantità sufficiente di beta-glucuronidasi, parte di questi zuccheri si accumulano nelle cellule, causando danni all'organismo.

Come agisce Mepsevii
Questo medicinale sostituisce la beta-glucuronidasi - ciò aiuta a scomporre gli zuccheri che si sedimentano nei tessuti dei soggetti affetti da MPS VII.
- Il trattamento può migliorare diversi segni e sintomi della malattia, come difficoltà a camminare e stanchezza.

Avviare un trattamento precoce nei bambini può interrompere una degenerazione della malattia e ridurre danni permanenti.

Documento reso disponibile da AIFA il 19/10/2021
Esula dalla competenza dell'AIFA ogni eventuale disputa concernente i diritti di proprietà industriale e la tutela brevettuale dei dati relativi all'AIC dei medicinali e, pertanto, l'Agenzia non può essere ritenuta responsabile in alcun modo di eventuali violazioni da parte del titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio (o titolare AIC).
Agenzia Italiana del Farmaco

2. Cosa deve sapere prima di prendere Mepsevii

Non prenda Mepsevii:
- se ha avuto una reazione allergica grave alla vestronidasi alfa o ad uno qualsiasi degli altri eccipienti di questo medicinale (elencati al paragrafo 6).

Avvertenze e precauzioni
Si rivolga al medico prima di prendere Mepsevii.

Gli effetti del trattamento con vestronidasi alfa devono essere valutati periodicamente e l'interruzione del trattamento deve essere tenuta in considerazione nei casi in cui non sono osservati benefici evidenti (inclusa la stabilizzazione delle manifestazioni della malattia). L'interruzione del trattamento potrebbe causare un peggioramento significativo della condizione clinica del paziente.

Deve essere tenuto in considerazione che la somministrazione di vestronidasi alfa non incide sulle complicazioni irreversibili (ad esempio deformità del sistema scheletrico).

Faccia attenzione agli effetti indesiderati

- Può riscontrare effetti indesiderati mentre le è somministrato Mepsevii o fino a un giorno dopo. Questi effetti indesiderati sono chiamati reazioni all'infusione poiché sono causati dall'infusione (flebo) del medicinale. Essi possono includere una reazione allergica (vedere sezione 4). Se manifesta una reazione all'infusione, **informi immediatamente il medico.**
- Se manifesta una reazione allergica durante l'infusione il medico potrà rallentare o interrompere tale infusione. Il medico potrebbe somministrarle (o averle somministrato) altre medicine per gestire le reazioni allergiche come antistaminici, corticosteroidi o un antipiretico, un medicinale per ridurre la febbre.

Altri sintomi a cui fare attenzione

- Se manifesta dolori al collo o alla schiena, sente le braccia o le gambe intorpidite, o se non riesce a controllare le urine o le feci, **informi immediatamente il medico**. Questi problemi possono essere segni della malattia e possono essere causati dalla pressione sul midollo spinale.

Altri medicinali e Mepsevii
Chieda al dottore se sta usando, ha usato di recente o potrebbe utilizzare altri medicinali.

Gravidanza e allattamento
Se è in corso una gravidanza, se sospetta o sta pianificando una gravidanza o se sta allattando con latte materno chieda consiglio al medico prima di prendere questo medicinale.

Non prenda Mepsevii in caso di gravidanza a meno che il trattamento non sia strettamente necessario. Consulti il medico per stabilire se i benefici nell'utilizzare Mepsevii sono superiori rispetto ai possibili rischi al nascituro. Questo perché non sono disponibili dati sull'uso di Mepsevii durante la gravidanza.

Non è noto se Mepsevii passi attraverso il latte materno, ma non si prevede che il medicinale passi al bambino. Consulti il medico per stabilire se i benefici nell'utilizzare Mepsevii sono superiori rispetto ai potenziali rischi al bambino mentre allatta.

Guida di veicoli e utilizzo di macchinari
Non sono noti effetti di Mepsevii sulla capacità di guidare veicoli o sull'uso di macchinari.

Mepsevii contiene sodio
Questo medicinale contiene 17,8 mg di sodio (elemento principale del sale da cucina / da tavola) in ogni fiala da 5 mL, ed è somministrato con sodio cloruro pari a 9 mg/mL come diluente. Ogni fiala somministrata corrisponde dunque all'1,8% dell'assunzione giornaliera massima di sodio consigliata per un adulto. Tenga conto di ciò se segue un regime alimentare povero di sodio.

Documento reso disponibile da AIFA il 19/10/2021
Esula dalla competenza dell'AIFA ogni eventuale disputa concernente i diritti di proprietà industriale e la tutela brevettuale dei dati relativi all'AIC dei medicinali e, pertanto, l'Agenzia non può essere ritenuta responsabile in alcun modo di eventuali violazioni da parte del titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio (o titolare AIC).
Agenzia Italiana del Farmaco

3. Come prendere Mepsevii

Il trattamento con Mepsevii deve essere avviato e monitorato da un medico.
- Il medico o l'infermiere le somministreranno Mepsevii mediante un'infusione (flebo) in una vena.
- Il medicinale dovrà essere diluito prima di essere somministrato.
- Il medico potrebbe somministrarle (o averle somministrato) anche alcune medicine per gestire le reazioni allergiche come antistaminici, corticosteroidi o un antipiretico, un medicinale per ridurre la febbre.

Dose
La dose che le sarà somministrata dipenderà da quanto pesa.
- La dose raccomandata è 4 mg per ogni chilogrammo di peso corporeo.
- La dose viene somministrata ogni due settimane attraverso una flebo in una vena (infusione endovenosa).
- Ogni infusione sarà somministrata nel corso di circa 4 ore.

Se prende più Mepsevii di quanto deve
Mepsevii le viene somministrato ed è monitorato dal medico. Lui/lei verificherà che riceverà la corretta dose ed interverrà se necessario.

Se ha ulteriori domande circa l'uso di questo medicinale, si rivolga al medico.

4. Possibili effetti indesiderati

Come tutti i medicinali, questo medicinale può causare effetti indesiderati sebbene non tutte le persone li manifestino.

Gli effetti indesiderati si sono manifestati principalmente mentre i pazienti stavano ricevendo il medicinale o entro un giorno dall'infusione (reazioni all'infusione).

Informi immediatamente il medico se avverte uno dei seguenti effetti indesiderati – potrebbe avere bisogno di cure mediche urgenti:

Effetti indesiderati **molto comuni** (possono interessare più di 1 persona su 10):
- Reazioni allergiche gravi (reazione anafilattoide) - I sintomi di una reazione allergica grave possono includere respiro affannoso, sibili, difficoltà respiratorie e rigonfiamento del volto e della lingua. Il suo medico potrebbe somministrarle (o averle somministrato) anche altre medicine per gestire le reazioni allergiche come antistaminici, corticosteroidi o un antipiretico, un medicinale per ridurre la febbre.
- Pomfi (orticaria).
- Eruzione cutanea.
- Gonfiore presso il sito dell'infusione, inclusa perdita nel tessuto intorno alla vena (tumefazione in sede di infusione o stravaso in sede di infusione).

Effetti indesiderati **comuni** (possono interessare fino a 1 persona su 10):
- Prurito della pelle
- Perdita delle feci (diarrea)
- Febbre con contrazioni involontarie dei muscoli del volto o degli arti (convulsioni febbrili)

Segnalazione degli effetti indesiderati
Se si manifesta un qualsiasi effetto indesiderato, compresi quelli non elencati in questo foglio, si rivolga al medico. Può inoltre segnalare gli effetti indesiderati direttamente tramite il sistema nazionale di segnalazione riportato nell' Allegato V. Segnalando gli effetti indesiderati può contribuire a fornire maggiori informazioni sulla sicurezza di questo medicinale.

Documento reso disponibile da AIFA il 19/10/2021
Esula dalla competenza dell'AIFA ogni eventuale disputa concernente i diritti di proprietà industriale e la tutela brevettuale dei dati relativi all'AIC dei medicinali e, pertanto, l'Agenzia non può essere ritenuta responsabile in alcun modo di eventuali violazioni da parte del titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio (o titolare AIC).

5. Come conservare Mepsevii

Conservi questo medicinale fuori dalla vista e dalla portata dei bambini.

Non usi questo medicinale dopo la data di scadenza che è riportata sulla scatola dopo la scritta "SCADENZA". La data di scadenza si riferisce all'ultimo giorno di quel mese.

Fiale non aperte:
- Conservare in frigorifero (da 2°C a 8°C).
- Non congelare.
- Conservare nella confezione originale per proteggere il medicinale dalla luce.
- Non usare questo medicinale se nota delle particelle.

Non getti alcun medicinale nell'acqua di scarico e nei rifiuti domestici. Chieda al farmacista come eliminare i medicinali che non utilizza più. Questo aiuterà a proteggere l'ambiente.

6. Contenuto della confezione e altre informazioni

Cosa contiene Mepsevii
- Il principio attivo è la vestronidasi alfa. Ogni mL di concentrato contiene 2 mg di vestronidasi alfa. Ogni fiala di concentrato da 5 mL contiene 10 mg di vestronidasi alfa.
- Gli altri eccipienti sono: sodio diidrogeno fosfato diidrato, sodio cloruro, istidina, polisorbato 20 e acqua per preparazioni iniettabili (per il sodio, vedere il paragrafo 2 alla sezione "Mepsevii contiene sodio").

Descrizione dell'aspetto di Mepsevii e contenuto della confezione
Mepsevii è fornito come concentrato per soluzioni per infusioni (concentrato sterile). Il concentrato da incolore a leggermente giallo deve essere privo di particelle visibili. È fornito in una fiala in vetro trasparente con un tappo in gomma e un sigillo in alluminio con un cappuccio in plastica.

Dimensioni della confezione: 1 fiala da 5 mL

Titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio
Ultragenyx Germany GmbH
Rahel-Hirsch-Str. 10
10557 Berlino
Germania

Produttore
Ultragenyx Netherlands B. V.
Evert van de Beekstraat 1, Unit 104
1118 CL Schiphol
Paesi Bassi

Millmount Healthcare Ltd.
Block-7, City North Business Campus
Stamullen, Co. Meath,
Irlanda

Per ulteriori informazioni su questo medicinale, contatti il rappresentante locale del titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio:

Documento reso disponibile da AIFA il 19/10/2021
Esula dalla competenza dell'AIFA ogni eventuale disputa concernente i diritti di proprietà industriale e la tutela brevettuale dei dati relativi all'AIC dei medicinali e, pertanto, l'Agenzia non può essere ritenuta responsabile in alcun modo di eventuali violazioni da parte del titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio (o titolare AIC).
Agenzia Italiana del Farmaco

BE, BG, CZ, DK, DE, EE, IE, EL, ES, HR, IT, CY, LV, LT, LU, HU, MT, NL, AT, PL, PT, RO, SI, SK, FI, SE, UK

Ultragenyx Germany GmbH, DE
Tel/Tél/Тел./Tlf/Τηλ/Puh/Sími: + 49 30 20179810

FR
Ultragenyx France SAS, FR
Tél: + 33 185 653761 ou 0800 91 79 24 (numéro vert)

Questo foglio illustrativo è stato aggiornato il MM/AAAA.

A questo medicinale è stata rilasciata un’autorizzazione in "circostanze eccezionali". Ciò significa che data la rarità della malattia non è stato possibile ottenere informazioni complete su questo medicinale. L’Agenzia europea dei medicinali esaminerà annualmente qualsiasi nuova informazione su questo medicinale e questo foglio illustrativo verrà aggiornato, se necessario.

Altre fonti d’informazione

Informazioni più dettagliate su questo medicinale sono disponibili sul sito web dell'Agenzia europea dei medicinali: http://www.ema.europa.eu. Inoltre, sono riportati link ad altri siti web su malattie rare e relativi trattamenti terapeutici.

Agenzia Italiana del Farmaco

Documento reso disponibile da AIFA il 19/10/2021
Esula dalla competenza dell’AIFA ogni eventuale disputa concernente i diritti di proprietà industriale e la tutela brevettuale dei dati relativi all’AIC dei medicinali e, pertanto, l’Agenzia non può essere ritenuta responsabile in alcun modo di eventuali violazioni da parte del titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio (o titolare AIC).