



Checklista för byte till Nexviadyme respektive Pombiliti/Opfolda vid behandling av Pompes sjukdom

Avtal

Nexviadyme och Pombiliti/Opfolda är från och med oktober 2024 nationellt upphandlade läkemedel för behandling av glykogenos typ II eller så kallad Pompes sjukdom. Avtalen gäller perioden 2024-10-01 till och med 2026-09-30, med möjlighet till upp till två års förlängning.

Rekommendation

- *Behandlingsnaiva patienter; behandling påbörjas med antingen Nexviadyme eller Pombiliti/Opfolda, enligt respektive produktresumé och kriterier nedan.*
- *För patienter med IOPD samt patienter under 18 år med LOPD; behandling med Myozyme byts till Nexviadyme enligt produktresumé.*
- *För patienter med LOPD med en vikt ≥ 40 kg och ålder 18 år och äldre; behandling med Myozyme/Nexviadyme byts till Pombiliti/Opfolda.*
- *Undantag från ovanstående, ska endast göras i de fall det finns medicinska skäl att använda annat läkemedel.*

IOPD; infantile-onset Pompe disease

LOPD; late-onset Pompe disease

Checklista

Nedanstående checklista kan användas för att följa upp bytet till Nexviadyme eller Pombiliti/Opfolda, samt för att underbygga eventuella medicinska skäl till avsteg.

Första behandlingarna med ett nytt läkemedel ges på vårdinrättning. Eventuell fortsatt behandling i hemmet avgörs utifrån klinisk och praktisk bedömning i det individuella fallet.

Utvärdering bör ske i samverkan med nationell högspecialiserad vård (NHV).

Vid byte till nytt läkemedel bör aktuell baslinje noteras innan bytet. Baslinjemått, definierade i uppföljningsparametrarna nedan, utgörs av mått på:

- biokemiska markörer
- andningsfunktion



- muskelstyrka
- hjärtfunktion (endast för patienter med IOPD)

Första året efter bytet bör behandlingsresultat följas upp var tredje månad avseende biokemiska markörer och hjärtfunktion samt var sjätte månad avseende övriga parametrar, inklusive klinisk bedömning utifrån anamnes. Därefter rekommenderas sedvanlig uppföljning var 6-12:e månad enligt lokala rutiner.

Rekommenderade uppföljningsparametrar under första året efter byte av läkemedel

- Infusionsrelaterade reaktioner eller tecken på överkänslighetsreaktioner
- Kliniska tecken på systemiska immunkomplexrelaterade reaktioner
- Analys av biokemiska markörer (var tredje månad)
 - Kreatinkinas (CK) och ALAT/ASAT
 - Antikroppar (information och rutin, se nedan)
- Bedömning av andningsfunktion (var sjätte månad)
 - LOPD - FVC sittande och liggande samt antal timmar i behov av ventilationsstöd
 - IOPD - anpassat efter patientens ålder
- Bedömning av muskelstyrka (var sjätte månad)
 - LOPD - myometri och gångsträcka (6MWT)
 - IOPD - anpassat efter patientens ålder
- Bedömning av hjärtfunktion (endast för patienter med IOPD)
 - ProBNP var tredje månad. Vid försämring genomförs ultraljud hjärta i enlighet med klinisk bedömning

Se även respektive tillverkares produktresumé.

Analys av antikroppar – information och rutin

Analys av antikroppar för glykogenos typ II genomförs idag för Myozyme på Klinisk Kemiskt Laboratorium Sahlgrenska Universitetssjukhuset. Metod kommer sättas upp även för de nya läkemedlen. Till dess kommer respektive företag stå för analyserna enligt nedan:

- **Nexviadyme – rutin för antikroppsanalys**
 - Kliniken skapar konto hos företaget Labcorp. Kontaktperson Sanofi: Sara Berkö sara.berko@sanofi.com telefonnummer 070-267 73 55



- **Pombiliti/Opfolda – rutin för antikroppsanalys**

- Instruktionsmaterial och information, kontakta företaget Amicus:
nordics@amicusrx.com. Kontaktperson Amicus: Sofia Nordin, telefonnummer 070-663 77 40.

Klinisk Kemi, Sahlgrenska universitetssjukhuset, behöver ett serumprov vid baslinjen och ytterligare ett prov efter tre månader för att kunna utveckla och därmed på sikt ta över analyserna. Om möjligt tas även EDTA-blod vid dessa tillfällen. Proverna fryses och skickas till Klinisk Kemi. Kontaktperson: Maria Blomqvist maria.k.blomqvist@vgregion.se, telefonnummer 073-867 81 24.

Medicinska skäl till avsteg

Om patient fått försämrat behandlingsresultat, eller biverkningar som en följd av insatt behandling med Nexviadyme eller Pombiliti/Opfolda, kan behandlingsförsök göras med annat läkemedel.

Checklistan har utformats av:

Cristina Firanescu, biträdande överläkare
Neurologiska kliniken
Karolinska Universitetssjukhuset
Stockholm

Sara Nordström, överläkare neurologi
Neuromuskulärt centrum, Neurologen
Sahlgrenska Universitetssjukhuset
Göteborg

Kristina Rosengren-Forsblad, överläkare
Sektionen för Barnneurologi
Akademiska Barnsjukhuset
Uppsala

Antri Savvidou, överläkare
Neurologmottagning Barn
Drottning Silvias Barnsjukhus
Göteborg

Frågor om checklistan kan besvaras av:

Anders Bergström
anders.bergstrom@norrbottn.se
Apotekare
Sunderby sjukhus
Luleå

Checklista för byte till Nexviadyme respektive Pombiliti/Opfolda vid behandling av Pompes sjukdom. Version 1 – 2024-11-22.