

What is in this leaflet

1. What Vimizim is used for
2. How Vimizim works
3. Before you are treated with Vimizim
4. How Vimizim is given
5. While you are using it
6. Side effects
7. Storage and Disposal of Vimizim
8. Further Information
9. Manufacturer and Product Registration Holder
10. Date of revision

What Vimizim is used for

Vimizim is used to treat patients with MPS IVA disease (Mucopolysaccharidosis Type IVA, Morquio A Syndrome).

People with MPS IVA disease have either a low level, or reduced activity, of an enzyme called N-acetylgalactosamine-6-sulfatase (or GALNS), which breaks down specific substances (for example, keratan sulfate) in the body. As a result, these specific substances do not get broken down and processed by the body as they should. They accumulate in many tissues in the body, which causes the symptoms of MPS IVA.

How Vimizim works

This medicine contains an enzyme called elosulfase alfa. It works by replacing the natural enzyme in MPS IVA patients. Treatment has been shown to improve walking ability and to reduce the levels of keratan sulfate in the body.

Ask your doctor if you have any questions about why Vimizim has been prescribed for you.

Vimizim is available only with a doctor's prescription.

Before you are treated with Vimizim

- When you must not use it

If you have experienced life-threatening allergic reactions to

elosulfase alfa or any of the other ingredients of this medicine (listed in section 8).

- Before you start treatment

Tell your doctor if you are pregnant or plan to become pregnant.

- Vimizim has not been studied in pregnant patients and should not be given during pregnancy unless clearly necessary.

Tell your doctor if you are breastfeeding or wish to breastfeed during this time.

- It is not known if Vimizim passes into breast milk. You and your doctor should discuss the risks and benefits of continuing to take Vimizim while breastfeeding.

Tell your doctor if you have, or have had, any medical conditions, especially the following:

- A severe allergic reaction to elosulfase alfa or any of the other ingredients of Vimizim. Some of the symptoms of an allergic reaction may include:
 - shortness of breath
 - wheezing or difficulty breathing
 - swelling of the face, lips, tongue or other parts of the body
 - rash, itching or hives on the skin
 - Any severe side effects with previous Vimizim treatment.

- Taking other medicines

Tell your doctor if you are taking, have recently taken or might take any other medicines.

How Vimizim is given

- How much is given

The dose you receive is based on your body weight. The recommended dose regimen is 2 mg/kg body weight administered once every week

through a drip into a vein (by intravenous infusion).

- When to use it

Your doctor or nurse will administer Vimizim to you.

The medicine has to be diluted before being given.

- How long to use it

Each infusion will be given over approximately 4 hours. Vimizim is intended for long term use and may be started at as young of an age as possible.

- If you miss a dose

If you have missed a Vimizim infusion, please contact your doctor or nurse.

While you are using it

MPS IVA can cause pressure on the spinal cord. Tell your doctor if you notice any of the following:

- back pain
- numbness or loss of feeling in parts of your body
- Any bowel or bladder problems

- Things you must do

Keep all appointments with your doctor and always discuss anything that worries you during or after treatment with Vimizim.

If you become pregnant while you are treated with Vimizim, tell your doctor immediately.

- Things you must not do

Do not stop going to your visits for treatment with Vimizim without checking with your doctor.

Your condition may worsen if you stop receiving Vimizim.

- Things to be careful of

Driving and using machines

No studies of Vimizim effects on the ability to drive and use machines have been performed.

Side effects

Like all medicines, Vimizim can cause side effects, although not everybody gets them.

Tell your doctor or nurse if you experience any of the following:

- Headache
- Nausea
- Vomiting
- Fever
- Chills
- Diarrhoea
- Mouth and throat pain
- Stomach ache
- Dizziness
- Shortness of breath
- Muscle pain
- Allergic reactions

Most side effects have occurred either during the infusion or within one day after the infusion.

Allergic reactions

Tell your doctor or nurse immediately if you experience any of the following side effects:

- shortness of breath
- wheezing or difficulty breathing
- swelling of the face, lips, tongue or other parts of the body
- rash, itching or hives on the skin.

These can be symptoms of an allergic reaction, which can be serious. If you have an allergic reaction, your doctor may slow down, or stop your infusion. Your doctor may also give you additional medicines to manage any allergic reaction. Your doctor will decide when you can restart Vimizim treatment.

Ask your doctor to answer any questions you may have.

Tell your doctor if you notice anything else that is making you feel unwell. If you get any side effects, talk to your doctor or nurse. This

includes any possible side effects not listed in this leaflet. You may report side effects or adverse drug reactions directly to the National Centre for Adverse Drug Reaction Monitoring by calling Tel: 03-78835550, or visiting the website portal.bpfk.gov.my. Side effects can also be reported to Pharm-D by fax 603-7770-1918 or email drugsafety@pharmd.com.my.

Storage and Disposal of Vimizim

- Storage

Vimizim must be kept in a refrigerator at 2°C to 8°C, but it must not be frozen. The vial should be kept in the carton to protect it from light.

Each vial is intended for single use only.

- Disposal

Medicines should not be disposed of via wastewater or household waste.

Further Information

- What it looks like

Vimizim is a clear, colourless to pale yellow solution. It is supplied in a 5 mL clear glass vial with a rubber stopper and aluminium seal. Each pack contains 1 vial.

- Ingredients

Active ingredient(s)

- The active ingredient in Vimizim is elosulfase alfa. Each 5 mL vial contains 5 mg elosulfase alfa.

Inactive ingredients: The solution also contains the following inactive ingredients:

- sodium acetate trihydrate
- sodium phosphate – monobasic monohydrate
- arginine hydrochloride
- sorbitol
- polysorbate 20
- water for injections

Vimizim solution does not contain any preservative.

- MAL number(s):

MAL*****

Manufacturer

BioMarin International Limited
Shanbally, Ringaskiddy
County Cork
Ireland

Product Registration Holder:

Pharm-D Sdn. Bhd.
No 8B, Jalan 1/137C
Bedford Business Park
Off Jalan Kelang Lama
58000 Kuala Lumpur
General line: +603-7770 7918
Fax line: +603-7770 1918
Email: drugsafety@pharmd.com.my

Date of revision

DD/MM/YYYY

Serial Number

BPFK(Rx/x) xxxxxx/xxxxx

® Registered trademark

Apakah yang ada pada risalah ini

1. Apakah kegunaan Vimizim
2. Bagaimana Vimizim berfungsi
3. Sebelum anda dirawat dengan Vimizim
4. Bagaimana Vimizim diberikan
5. Semasa menggunakan Vimizim
6. Kesan-kesan sampingan
7. Cara penyimpanan dan pelupusan Vimizim
8. Maklumat lanjut
9. Pengilang dan Pemegang Pendaftaran Produk
10. Tarikh kemaskini RiMUP

Apakah kegunaan Vimizim

Vimizim digunakan untuk merawat pesakit MPS IVA (Mucopolysaccharidosis Type IVA, Morquio A Syndrome).

Orang yang mempunyai penyakit MPS IVA sama ada mempunyai paras enzim yang dikenali sebagai N-acetylgalactosamine-6-sulfatase (atau GALNS) yang rendah, atau kekurangan aktiviti enzim. Enzim ini memecahkan bahan-bahan spesifik (contohnya, sulfat keratan) dalam badan. Akibatnya, bahan-bahan ini tidak dapat dipecahkan dan diproses oleh badan seperti yang sepatutnya. Bahan-bahan ini terkumpul di pelbagai tisu dalam badan, yang menyebabkan gejala MPS IVA.

Bagaimana Vimizim berfungsi

Ubat ini mengandungi enzim yang dipanggil elosulfase alfa. Ia berfungsi dengan menggantikan enzim semulajadi dalam pesakit MPS IVA. Rawatan telah terbukti untuk meningkatkan keupayaan berjalan dan untuk mengurangkan paras sulfat keratan di dalam badan.

Tanya doktor anda jika anda mempunyai sebarang soalan mengenai mengapakah Vimizim telah dipreskripsikan untuk anda.

Vimizim hanya boleh didapati dengan preskripsi doktor.

Sebelum anda dirawat dengan Vimizim

- Bila tidak boleh mengambil

Jika anda pernah mengalami reaksi alahan yang mengancam nyawa kepada elosulfase alfa atau mana-mana bahan-bahan lain dalam ubat ini (yang tersenarai dalam seksyen 8).

- Sebelum anda memulakan rawatan

Beritahu doktor anda jika anda telah hamil atau ingin menjadi hamil.

- Vimizim belum dikaji pada pesakit hamil dan tidak harus diberikan semasa hamil kecuali jelas diperlukan.

Beritahu doktor anda jika anda menyusui atau ingin menyusui pada masa ini.

- Tidak ada maklumat mengenai Vimizim melalui dari badan ke dalam susu ibu. Sila berbincang dengan doktor anda atas risiko dan kebaikan Vimizim semasa anda menyusui.

Beritahu doktor anda jika anda mengalami apa-apa masalah kesihatan, terutamanya seperti yang berikut:

- Reaksi alahan yang serius terhadap elosulfase alfa atau mana-mana bahan-bahan lain dalam Vimizim. Sebahagian daripada simptom-simptom reaksi alahan termasuk:
 - sesak nafas
 - nafas berdehit atau susah bernafas
 - muka, bibir, lidah atau bahagian badan yang lain menjadi bengkak
 - ruam, gatal-gatal atau urtikaria pada kulit
 - Apa-apa kesan sampingan yang serius dengan rawatan Vimizim sebelum ini.

- Jika mengambil ubat-ubat lain

Beritahu doktor anda jika anda mengambil, baru-baru ini telah mengambil atau mungkin mengambil ubat-ubat lain.

Bagaimana Vimizim diberikan

- Berapa banyak harus diberikan

Dos yang anda terima adalah berdasarkan kepada berat badan anda. Regimen dos yang dicadangkan adalah 2 mg/kg berat badan yang disuntikkan seminggu sekali melalui titisan ke dalam saluran darah (melalui infusi intravena).

- Bila perlu digunakan

Doktor atau jururawat anda akan memberikan Vimizim kepada anda.

Ubat ini perlu dicairkan sebelum diberi.

- Berapa lama perlu digunakan

Setiap infusi akan diberikan selama kira-kira 4 jam. Vimizim ditujukan untuk kegunaan jangka masa panjang dan boleh dimulakan pada usia seawal yang mungkin.

- Jika terlepas satu dos

Jika anda telah terlepas infusi Vimizim, sila hubungi doktor atau jururawat anda.

Semasa menggunakan Vimizim

MPS IVA boleh menyebabkan tekanan pada saraf tunjang. Beritahu doktor anda jika anda mengalami kesan-kesan yang berikut:

- sakit belakang
- kebas atau kehilangan perasaan di bahagian-bahagian badan anda
- Sebarang masalah usus atau pundi kencing

- Perkara yang perlu dilakukan

Patuhi semua temu janji dengan doktor anda dan sentiasa berbincang dengan doktor anda mengenai perkara yang membimbangkan anda semasa atau selepas rawatan dengan Vimizim.

Sekiranya anda telah hamil semasa rawatan dengan Vimizim, beritahu doktor anda dengan segera.

- Perkara yang tidak boleh dilakukan

Jangan berhenti rawatan anda dengan Vimizim tanpa menyemak dengan doktor anda.

Keadaan anda mungkin menjadi lebih teruk jika anda berhenti menerima Vimizim.

- Perkara yang perlu diberi perhatian

Memandu dan menggunakan jentera
Tidak ada kajian terhadap kesan Vimizim kepada keupayaan untuk memandu dan menggunakan jentera.

Kesan-kesan sampingan

Seperti ubat-ubat lain, Vimizim boleh menyebabkan kesan sampingan, walaupun bukan semua orang mengalaminya.

Jumpa doktor atau jururawat anda dengan segera jika anda mengalami sebarang kesan sampingan berikut:

- Sakit kepala
- Loya
- Muntah
- Demam
- Seram sejuk
- Cirit-birit
- Sakit mulut dan sakit tekak
- Sakit perut
- Pening
- Sesak nafas
- Sakit otot
- Reaksi alahan

Kebanyakan kesan sampingan telah berlaku sama ada semasa infusi atau dalam tempoh satu hari selepas infusi.

Reaksi Alahan

Beritahu doktor atau jururawat anda dengan segera jika anda mengalami mana-mana kesan sampingan yang berikut:

- sesak nafas
- nafas berdehit atau susah bernafas
- muka, bibir, lidah atau bahagian badan yang lain menjadi bengkak
- ruam, gatal-gatal atau urtikaria pada kulit

Ini mungkin simptom reaksi alahan, yang boleh menjadi serius. Jika anda mempunyai reaksi alahan, doktor anda mungkin memperlahankan, atau menghentikan infusi anda. Doktor anda juga mungkin memberikan ubat tambahan kepada anda untuk menangani apa-apa reaksi alahan. Doktor anda akan menentukan bila anda boleh memulakan semula rawatan Vimizim.

Tanya doktor anda untuk menjawab apa-apa soalan yang anda ada.

Beritahu doktor anda jika anda berasa tidak sihat. Jika anda mengalami apa-apa kesan sampingan, berbincang dengan doktor atau jururawat anda. Ini termasuk apa-apa kesan sampingan yang tidak disenaraikan di dalam risalah ini. Anda boleh melaporkan sebarang kesan sampingan atau kesan advers ubat kepada Pusat Pemantauan Kesan Advers Ubat Kebangsaan melalui No. Tel: 03-78835550, atau laman web portal.bpfk.gov.my. Kesan-kesan sampingan juga boleh dilaporkan kepada Pharm-D melalui faks 603-7770-1918 atau e-mel drugsafety@pharmd.com.my.

Cara penyimpanan dan pelupusan Vimizim

- Penyimpanan

Vimizim mesti disimpan dalam peti sejuk pada suhu 2 ° C hingga 8 ° C, tetapi ia tidak boleh dibekukan. Vial harus disimpan dalam kotak supaya terlindung daripada cahaya.

Setiap vial bertujuan untuk digunakan sekali sahaja.

- Pelupusan

Ubat-ubatan tidak harus dilupuskan melalui air buangan atau sisa isi rumah.

Maklumat lanjut

- Rupa dan warna produk

Vimizim adalah larutan jelas, tidak berwarna ke kuning pucat. Ia dibekalkan dalam vial kaca 5 mL dengan penyumbat getah dan meterai aluminium. Setiap pek mengandungi 1 vial.

- Bahan-bahan kandungan

Bahan aktif

- Bahan aktif Vimizim adalah elosulfase alfa. Setiap vial 5 mL mengandungi 5 mg elosulfase alfa.

Bahan tidak aktif: Larutan ini juga mengandungi bahan-bahan tidak aktif berikut:

- sodium acetate trihydrate
- sodium phosphate – monobasic monohydrate
- arginine hydrochloride
- sorbitol
- polysorbate 20
- air untuk suntikan

Larutan Vimizim tidak mengandungi sebarang bahan pengawet.

- Nombor MAL
MAL*****

Pengilang

BioMarin International Limited
Shanbally, Ringaskiddy
County Cork
Ireland

Pemegang Pendaftaran Produk

Pharm-D Sdn. Bhd.
No 8B, Jalan 1/137C
Bedford Business Park
Off Jalan Kelang Lama
58000 Kuala Lumpur
Telefon: +603-7770 7918
Faks: +603-7770 1918
Email: drugsafety@pharmd.com.my

Tarikh kemaskini RiMUP

DD/MM/YYYY

Nombor Siri

BPFK(Rx/x) xxxxxx/xxxxx

® Registered trademark