Summarized Information_English

Product Name	Nexviadyme
Active substance	Avalglucosidase alfa

famhp
federal agency for medicines and health products

Indication and conditions of use	Compassionate Use Program with avalglucosidase alfa enzyme replacement therapy for the treatment of adult Pompe disease patients who have participated and exit the clinical studies COMET (EFC14028) or NEO-EXT (LTS13769). Avalglucosidase alfa treatment should be supervised by a physician experienced in the management of patients with Pompe disease or other inherited metabolic or neuromuscular diseases. Patients will receive intravenous (IV) infusions of avalglucosidase alfa at a dose of 20 mg/kg body weight every other week (patients with LOPD) or 40 mg/kg body weight every other week (patients with IOPD). The total amount of avalglucosidase alfa administered may be adjusted as needed to allow for changes in body weight. Appropriate medical support measures, including cardiopulmonary resuscitation equipment especially for patients with cardiac hypertrophy and patients with significantly compromised respiratory function, should be readily available when avalglucosidase alfa is administered.
Conditions, delays and further rules for participation of patients	**Inclusion criteria** - The patient is not eligible for a clinical trial running with avalglucosidase alfa and/or a clinical trial running in the envisaged indication of this program. The treating physician should review www.clinicaltrials.gov and www.clinicaltrialsregister.eu for potential open clinical trials. - The patient cannot be satisfactorily treated with the approved,commercially and reimbursed available alternative treatments, in accordance with clinical guidelines, because of efficacy and/or safety issues. - The patient is an adult patient (≥ 18 years old) who has participated and exits the clinical studies COMET (EFC14028) or NEO-EXT (LTS13769), due to their closing, and would like to continue to be treated with avalglucosidase alfa. - The patient would, in the opinion and the clinical judgement of the treating physician, continue to benefit from a treatment with avalglucosidase alfa. - There is an unsolicited request for the patient from a (clinical study) site experienced in administration and safety management of avalglucosidase alfa. - The patient should have been clearly and completely informed by the treating physician and have signed the informed consent form before the start of the treatment. **Exclusion criteria** - The patient experienced or has experienced a serious or severe adverse event in studies COMET (EFC14028), NEO-EXT (LTS13769) or during compassionate use that, in the opinion of the treating physician, was probably or definitely related to avalglucosidase alfa use and could not be successfully treated/resolved, precluding the safe use of avalglucosidase alfa for the patient. - The patient is pregnant or breastfeeding. - If a female of childbearing potential or a sexually active male, the patient is unwilling to abstain from heterosexual intercourse in accordance with her/his preferred and usual lifestyle, or to use an acceptable, effective contraceptive method, while participating in this program and for 15 days after the last infusion of avalglucosidase alfa.

Duration of the program	Patients will be included as soon as the program is approved and on condition of the patients having completed the clinical trials COMET (EFC14028) or NEO-EXT (LTS13769) as foreseen. Avalglucosidase alfa will be provided free of charge by Sanofi Belgium on an individual patient basis following the criteria stated in this program from the set-up of the Compassionate Use Program until the product will be commercially available and reimbursed in Belgium in the envisaged indication or until, in the clinical judgement of the treating physician, the patient is no longer benefiting from continuation of the treatment, whichever is sooner.
Conditions of distribution	- The treating physician will check potential ongoing open clinical trials which could fit to the patient on www.clinicaltrials.gov and www.clinicaltrialsregister.eu and he will check the inclusion/exclusion criteria of the program. - The treating physician will submit an unsolicited request for supply of avalglucosidase alfa for a specific patient via the “Cliniport” online platform. The Medicine Access team at Clinigen can work with the treating physician to get him/her registered on the online platform. HCP willing to prescribe will have to send an e-mail to the Clinigen group: MedicineAccess@clinigengroup.com. - The request will be shared with the Belgian responsible physician. - The Belgian responsible physician sends the Belgian Patient Inclusion Initial Request form and the Physician Declaration form (see appendices) to the requesting physician to complete. - Once the completed forms are received by the Belgian responsible physician, he/she will evaluate the eligibility of the patient and rejection or approval will be notified to the requesting physician within 10 working days after reception of all requested information. - If the request has been approved, distribution procedure will be handled by Sanofi Clinical Supplies. - The medication will be delivered to the treating physician’s hospital pharmacy within 10 working days after approval. The treating physician will provide the medication to the patient. - Resupplies will be provided via requests to the online platform Cliniport. This will occur in 3-month shipments (depending on sites capacities).
Responsible of the program	Sanofi Belgium Airport Plaza – Montreal Building Leonardo Da Vincilaan 19 1831 Diegem +32 2 710 54 00 Responsible physician: Dr. Ann Matthys +32 2 710 54 00 ann.matthys@sanofi.com
Modalities for the disposal	Any unused medication needs to be returned to Sanofi Belgium or destroyed in an appropriate facility as soon as possible after the patient’s discontinuation from the Compassionate use program. The medication delivered for an individual patient request in the context of a Compassionate use program can only be used for that particular patient.

famhp
federal agency for medicines and health products

The information for registration of suspected unexpected serious adverse reactions	**Adverse reactions occurring in patients treated with Nexviadyme in a pooled analysis of clinical studies (N=138)**

System organ class	Frequency	Preferred term
Infections and infestations	Uncommon	Conjunctivitis
Immune Disorders	Very common Common	Hypersensitivity Anaphylaxis
Nervous system disorders	Common Common Common Uncommon Uncommon	Headache Dizziness Tremor Paresthesia Somnolence
Eye Disorders	Common Uncommon Uncommon Uncommon	Ocular hyperemia Conjunctival hyperemia Eye pruritis Lacrimation increased
Cardiac Disorders	Uncommon Uncommon	Tachycardia Ventricular extrasystoles
Vascular Disorders	Common Uncommon Uncommon	Hypertension Flushing Hypotension
Respiratory, thoracic and mediastinal disorders	Common Common Uncommon Uncommon Uncommon Uncommon Uncommon	Cough Dyspnoea Tachypnoea Laryngeal edema Respiratory distress Throat irritation Dyspepsia
Gastrointestinal disorders	Common Common Common Common Common Uncommon Uncommon Uncommon Uncommon	Nausea Diarrhoea Vomiting Lip swelling Swollen tongue Abdominal pain Hypoaesthesia oral Paraesthesia oral Dysphagia
Skin and subcutaneous tissue disorders	Common Common Common Common Common Uncommon Uncommon Uncommon	Pruritus Rash Urticaria Erythema Palmer erythema Angioedema Hyperhidrosis Skin discolouration
Musculoskeletal and connective tissue disorders	Common Common Uncommon	Muscle spasms Myalgia Pain in extremity
General disorders and administration site conditions	Common Common	Fatigue Chills

		Common	Chest discomfort
		Common	Pain
		Common	Influenza like illness
		Common	Infusion site pain
		Uncommon	Facial pain
		Uncommon	Hyperthermia
		Uncommon	Infusion site extravasation
		Uncommon	Infusion site joint pain
		Uncommon	Infusion site rash
		Uncommon	Infusion site reaction
		Uncommon	Infusion site urticaria
		Uncommon	Localized edema
		Uncommon	Peripheral Swelling
		Uncommon	Pyrexia
		Uncommon	Asthenia
	Investigation	Common	Blood pressure increased
		Common	Oxygen saturation decreased
		Uncommon	Body temperature increase
		Uncommon	Heart rate increased
		Uncommon	Breath sounds abnormal
		Uncommon	Complement factor increased
		Uncommon	Immune Complex level increased
	Table includes treatment related adverse events that are considered biologically plausibly related to avalglucosidase alfa based on the alglucosidase alfa SmPC. Requirements: The treating physician is requested to report at least AEs, SAEs and other PV data, using the Individual Safety Information (ISI) Documentation Form, within 24 hours of awareness to the local Sanofi Pharmacovigilance contact.		

Informations résumées_Français

Nom du médicament	Nexviadyme
Nom de la substance active	Avalglucosidase alpha

Indication et conditions d'utilisation	Programme d'Usage Compassionnel d'une enzymothérapie substitutive par avalglucosidase alpha pour le traitement des patients adultes atteints de la maladie de Pompe ayant participé et quitté les études cliniques COMET (EFC14028) ou NEO-EXT (LTS13769). Le traitement par avalglucosidase alpha doit être supervisé par un médecin expérimenté dans la prise en charge de patients atteints de la maladie de Pompe ou d'autres maladies métaboliques ou neuromusculaires héréditaires. Les patients recevront des perfusions intraveineuses (IV) d'avalglucosidase alpha à une dose de 20 mg/kg de poids corporel toutes les deux semaines (patients atteints de la maladie de Pompe de forme tardive [*late-onset Pompe disease,* LOPD]) ou de 40 mg/kg de poids corporel toutes les deux semaines (patients atteints de la maladie de Pompe de forme infantile [*infantile-onset Pompe disease,* IOPD]). La quantité totale d'avalglucosidase alpha administrée peut être ajustée selon les besoins pour tenir compte des variations de poids corporel. Des mesures de soutien médical appropriées, y compris un équipement de réanimation cardiopulmonaire (en particulier pour les patients atteints d'hypertrophie cardiaque et les patients présentant une fonction respiratoire significativement compromise), doivent être facilement disponibles lorsque l'avalglucosidase alpha est administrée.

Conditions, délais et modalités selon lesquels les patients sont admis dans le programme	**Critères d'inclusion** - Le patient n'est pas éligible à participer à un essai clinique en cours avec l'avalglucosidase alpha et/ou à un essai clinique en cours dans l'indication envisagée de ce programme. - Le médecin traitant vérifiera les essais cliniques en cours qui pourraient convenir au patient sur www.clinicaltrials.gov et www.clinicaltrialsregister.eu - Le patient ne peut pas être traité de manière satisfaisante par les autres traitements approuvés,disponibles dans le commerce et remboursés, conformément aux directives cliniques, en raison de problèmes liés à leur efficacité et/ou leur sécurité d'emploi. - Le patient est un adulte (≥ 18 ans) qui a participé et quitté les études cliniques COMET (EFC14028) ou NEO-EXT (LTS13769), en raison de leur clôture, et souhaiterait continuer à être traité par avalglucosidase alfa. - Le patient continuera, selon l'avis et le jugement clinique du médecin traitant, à bénéficier d'un traitement par avalglucosidase alfa. - Une demande non sollicitée pour le patient est émise par un centre (étude clinique) expérimenté dans l'administration et la gestion de la sécurité de l'avalglucosidase alfa. - Le patient doit avoir été clairement et pleinement informés par le médecin traitant, et ils doivent avoir signé le formulaire de consentement éclairé avant le début du traitement. **Critères d'exclusion** - Le patient a présenté un événement indésirable grave ou sévère dans les études COMET (EFC14028), NEO-EXT (LTS13769) ou lors d'un usage compassionnel qui, de l'avis du médecin traitant, était probablement ou certainement lié à l'utilisation de l'avalglucosidase alfa et qui n'a pas pu être traité/résolu avec succès, excluant l'utilisation sûre de l'avalglucosidase alfa pour le patient. - La patiente est enceinte ou allaite. - Si la patiente est une femme en âge de procréer ou si le patient est un homme sexuellement actif, s'il ou si elle ne souhaite pas s'abstenir de tout rapport hétérosexuel conformément à son mode de vie préféré et habituel, ou utiliser une méthode de contraception acceptable et efficace pendant sa participation à ce programme et pendant 15 jours après la dernière perfusion d'avalglucosidase alpha.

Durée	Les patients seront inclus dès que le programme sera approuvé et à condition qu'ils aient terminé les essais cliniques COMET (EFC14028) ou NEO-EXT (LTS13769) comme prévu. L'avalglucosidase alpha sera fournie sans frais par Sanofi Belgique sur une base individuelle, selon les critères énoncés dans ce programme, dès la mise en place du programme d'usage compassionnel jusqu'à ce que le produit soit commercialisé et remboursé en Belgique dans l'indication prévue ou jusqu'à ce que, selon le jugement clinique du médecin traitant, le patient ne tire plus de bénéfice de la poursuite du traitement, selon la première éventualité.
Conditions de distribution	- Le médecin traitant vérifiera les essais cliniques en cours qui pourraient convenir au patient sur www.clinicaltrials.gov et www.clinicaltrialsregister.eu et vérifiera les critères d'inclusion/exclusion du programme. - Le médecin traitant soumettra une demande spontanée d'approvisionnement en avalglucosidase alfa pour un patient spécifique via la plateforme en ligne « Cliniport ». L'équipe Medicine Access de Clinigen peut aider le médecin traitant à s'inscrire sur la plateforme en ligne. Le professionnel de santé désireux de prescrire devra envoyer un courriel au groupe Clinigen à l'adresse : MedicineAccess@clinigengroup.com. - La demande sera communiquée au médecin responsable en Belgique. - Le médecin responsable en Belgique enverra le formulaire de demande initiale d'inclusion du patient belge et le formulaire de déclaration du médecin (voir annexes) au médecin demandeur pour qu'il les remplisse. - Une fois que le médecin responsable en Belgique aura reçu les formulaires remplis, il évaluera l'éligibilité du patient et le rejet ou l'approbation sera notifié au médecin demandeur dans les 10 jours ouvrables suivant la réception de toutes les informations demandées. - Si la demande est approuvée, la procédure de distribution sera prise en charge par Sanofi Clinical Supplies. - Le médicament sera livré à la pharmacie de l'hôpital du médecin traitant dans les 10 jours ouvrables suivant l'approbation. Le médecin traitant donnera le médicament au patient. - Les réapprovisionnements seront fournis via des demandes envoyées sur la plateforme en ligne Cliniport. Cela se fera sous la forme de livraisons pour 3 mois (en fonction des capacités des centres).

Responsable	Sanofi Belgium Airport Plaza – Montreal Building Leonardo Da Vincilaan 19 1831 Diegem +32 2 710 54 00 benedicte.goffart@sanofi.com Médecin responsable : Dr Ann Matthys +32 2 710 54 00 ann.matthys@sanofi.com
Modalités selon lesquelles les médicaments non-utilisés sont traités	Tout médicament non utilisé doit être retourné à Sanofi Belgique ou détruit dans un établissement approprié dès que possible après que le patient a cessé de participer au programme d'usage compassionnel. Le médicament délivré à la demande d'un patient individueldans le cadre d'un programme d'usage compassionnel ne peut être utilisé que pour ce patient particulier.

Données pour l'enregistrement des suspicions d'effets indésirables graves	**Effets indésirables survenus chez des patients traités par Nexviadyme dans une analyse combinée d'études cliniques (N = 138)**

Classe de Systèmes d'Organes	Fréquence	Termes préférentiels
Infections et infestations	Peu fréquent	Conjonctivite
Affections du système immunitaire	Très fréquent Fréquent	Hypersensibilité Anaphylaxie
Affections du système nerveux	Fréquent Fréquent Fréquent Peu fréquent Peu fréquent	Céphalées Sensation vertigineuse Tremblements Paresthésie Somnolence
Affections oculaires	Fréquent Peu fréquent Peu fréquent Peu fréquent	Hyperémie oculaire Hyperémie conjonctivale Prurit oculaire Augmentation de la sécrétion lacrymale
Affections cardiaques	Peu fréquent Peu fréquent	Tachycardie Extrasystoles ventriculaires
Affections vasculaires	Fréquent Peu fréquent Peu fréquent	Hypertension Bouffées congestives Hypotension
Affections respiratoires, thoraciques et médiastinales	Fréquent Fréquent Peu fréquent Peu fréquent Peu fréquent Peu fréquent Peu fréquent	Toux Dyspnée Tachypnée Œdème laryngé Détresse respiratoire Irritation de la gorge Dyspepsie
Affections gastro-intestinales	Fréquent Fréquent Fréquent Fréquent Fréquent Peu fréquent Peu fréquent Peu fréquent Peu fréquent	Nausées Diarrhée Vomissements Gonflement des lèvres Langue gonflée Douleurs abdominales Hypoesthésie buccale Paresthésie orale Dysphagie
Affections de la peau et du tissu sous-cutané	Fréquent Fréquent Fréquent Fréquent Fréquent Peu fréquent Peu fréquent Peu fréquent	Prurit Rash Urticaire Érythème Érythème palmaire Angiœdème Hyperhidrose Altération de la couleur cutanée
Affections musculo-squelettiques et systémiques	Fréquent Fréquent	Spasmes musculaires Myalgie

	Peu fréquent	Extrémités douloureuses
Troubles généraux et anomalies au site d'administration	Fréquent Fréquent Fréquent Fréquent Fréquent Fréquent Peu fréquent Peu fréquent Peu fréquent Peu fréquent Peu fréquent Peu fréquent Peu fréquent Peu fréquent Peu fréquent Peu fréquent Peu fréquent	Fatigue Frissons Gêne thoracique Douleurs Syndrome grippal Douleur au site de perfusion Douleur faciale Hyperthermie Extravasation au site de perfusion Douleur articulaire au site de perfusion Rash au site de perfusion Réaction au site de perfusion Urticaire au site de perfusion Œdème localisé Gonflement périphérique Fièvre Asthénie
Investigations	Fréquent Fréquent Peu fréquent Peu fréquent Peu fréquent Peu fréquent Peu fréquent	Pression artérielle augmentée Saturation en oxygène diminuée Température augmentée Fréquence cardiaque augmentée Bruits respiratoires anormaux Facteur du complément augmenté Taux de complexes immuns augmenté

Le Tableau inclut les effets indésirables considérés comme biologiquement reliés de manière plausible à l'avalglucosidase alfa sur la base du RCP de l'alglucosidase alfa.

Exigences :

Le médecin traitant est tenu de signaler au moins les effets indésirables, les effets indésirables graveset les autres données de pharmacovigilance (PV) à l'aide du formulaire de déclaration de renseignements personnels sur la sécurité (*Individual Safety Information,* ISI), dans les 24 heures suivant la prise de connaissance au contact local du département Pharmacovigilance de Sanofi.

Samengevatte informatie_Nederlands

Naam geneesmiddel	Nexviadyme
Naam actieve substantie	Avalglucosidase alfa

Indicatie en gebruiksvoorwaarden	Compassionate Use Programma met avalglucosidase alfa enzymvervangingstherapie voor de behandeling van volwassen patiënten met de ziekte van Pompe die hebben deelgenomen aan de klinische studie COMET (EFC14028) of NEO-EXT (LTS13769) en deze hebben verlaten. Behandeling met avalglucosidase alfa dient onder toezicht te staan van een arts met ervaring in de behandeling van patiënten met de ziekte van Pompe of andere erfelijke metabole of neuromusculaire ziekten. Patiënten krijgen intraveneuze (IV) infusen met avalglucosidase alfa om de week in een dosis van 20 mg/kg lichaamsgewicht (patiënten met ziekte van Pompe met late aanvang [*late-onset Pompe disease,* LOPD]) of om de week in een dosis van 40 mg/kg lichaamsgewicht (patiënten met vroeg optredende (infantiele) ziekte van Pompe [*infantile-onset Pompe disease,* LOPD]). De totale toegediende hoeveelheid avalglucosidase alfa kan indien nodig worden aangepast voor veranderingen in lichaamsgewicht. Passende medische ondersteuningsmaatregelen, waaronder cardiopulmonale reanimatieapparatuur, met name voor patiënten met harthypertrofie en patiënten met een aanzienlijk verminderde ademhalingsfunctie, moeten direct beschikbaar zijn wanneer avalglucosidase alfa wordt toegediend.

Voorwaarden, termijnen en nadere regelen waaronder patiënten worden toegelaten	**Inclusiecriteria** - De patiënt komt niet in aanmerking voor een klinische studie met avalglucosidase alfa en/of een klinische studie die wordt uitgevoerd voor de beoogde indicatie van dit programma. De behandelend arts zal de open klinische studies waarvoor de patiënt in aanmerking zou kunnen komen, nagaan op www.clinicaltrials.gov en www.clinicaltrialsregister.eu - De patiënt kan niet naar tevredenheid worden behandeld met de goedgekeurde,in de handel verkrijgbare en terugbetaalde alternatieve behandelingen, in overeenstemming met de klinische richtlijnen, vanwege werkzaamheids- en/of veiligheidsproblemen. - De patiënt is een volwassene die heeft deelgenomen aan klinische studie COMET (EFC14028) of NEO-EXT (LTS13769) en heeft deze verlaten vanwege de beëindiging ervan, en wil graag verder behandeld worden met avalglucosidase alfa. - De patiënt zal naar mening en klinisch oordeel van de behandelend arts blijven profiteren van een behandeling met avalglucosidase alfa. - Er is een spontaan verzoek voor de patiënt door een (klinisch onderzoeks) centrum met ervaring in toediening en veiligheidsbeheer van avalglucosidase alfa. - De patiënt moet duidelijk en volledig geïnformeerd zijn door de behandelend arts en voorafgaand aan de start van de behandeling het formulier voor geïnformeerde toestemming hebben ondertekend. **Exclusiecriteria** - De patiënt ondervond een serieuze of ernstige bijwerking in de studie COMET (EFC14028) of NEO-EXT (LTS13769) of tijdens compassionate use, die naar het oordeel van de behandelend arts waarschijnlijk of zeker verband hield met het gebruik van avalglucosidase alfa en niet met succes kon worden behandeld/opgelost, waardoor veilig gebruik van avalglucosidase alfa voor de patiënt wordt uitgesloten. - De patiënt is zwanger of geeft borstvoeding. - De patiënt is een vrouw in de vruchtbare leeftijd of een seksueel actieve man die niet bereid is zich te onthouden van heteroseksuele geslachtsgemeenschap, in overeenstemming met zijn/haar geprefereerde en gebruikelijke levensstijl, of een aanvaardbare, effectieve anticonceptiemethode te gebruiken tijdens deelname aan dit programma en gedurende 15 dagen na het laatste infuus met avalglucosidase alfa.

Looptijd	Patiënten zullen worden opgenomen zodra het programma is goedgekeurd en op voorwaarde dat de patiënten de klinische studie COMET (EFC14028) of NEO-EXT (LTS13769) hebben voltooid, zoals voorzien. Avalglucosidase alfa wordt door Sanofi Belgium zonder kosten verstrekt op individuele patiëntbasis, volgens de in dit programma vermelde criteria, van de opzet van het Compassionate Use Programma tot commerciële beschikbaarheid en terugbetaling van het product in de beoogde indicatie in België, of tot de patiënt naar het klinisch oordeel van de behandelend arts niet langer voordeel heeft bij voortzetting van de behandeling, afhankelijk van wat zich het eerst voordoet.
Distributievoorwaarden	- De behandelend arts blijft controleren of er lopende klinische onderzoeken zijn waaraan de patiënt zou kunnen deelnemen op www.clinicaltrials.gov en www.clinicaltrialsregister.eu en controleert de inclusie-/exclusiecriteria van het programma. - De behandelend arts zal via het online platform “Cliniport” een spontaan verzoek indienen voor levering van avalglucosidase alfa aan een specifieke patiënt. Het team voor geneeskundige toegang van Clinigen kan met de behandelend arts samenwerken om hem/haar op het online platform te laten registreren. De zorgverlener die zich wil laten registreren, moet een e-mail sturen naar de Clinigen-groep: MedicineAccess@clinigengroup.com. - Het verzoek zal gedeeld worden met de Belgische verantwoordelijke arts. - De Belgische verantwoordelijke arts stuurt het Belgische initiële aanvraagformulier voor inclusie van de patiënt en het verklaringsformulier van de arts (zie bijlagen) naar de aanvragende arts om in te vullen. - Zodra de ingevulde formulieren ontvangen zijn door de Belgische verantwoordelijke arts, zal hij/zij binnen 10 werkdagen na ontvangst van alle gevraagde informatie de geschiktheid van de patiënt beoordelen en de aanvragende arts op de hoogte brengen van de afwijzing of goedkeuring. - Als het verzoekis goedgekeurd, zal de distributieprocedure worden uitgevoerd door Sanofi Clinical Supplies. - De medicatie wordt binnen 10 werkdagen na goedkeuring geleverd aan de ziekenhuisapotheek van de behandelend arts. De behandelend arts zal de medicatie aan de patiënt verstrekken. - Herbevoorradingen worden verstrekt via aanvragen op het online platform Cliniport. Dit gebeurt in zendingen van 3 maanden (afhankelijk van de capaciteit van de centra).
Verantwoordelijke	Sanofi Belgium Airport Plaza – Montreal Building Leonardo Da Vincilaan 19 1831 Diegem +32 2 710 54 00 Verantwoordelijke arts: dr. Ann Matthys +32 2 710 54 00 ann.matthys@sanofi.com

Modaliteiten voor de behandeling van niet-gebruikt geneesmiddel	Enige ongebruikte medicatie dient te worden geretourneerd aan Sanofi België of te worden vernietigd in een toepasselijke faciliteit zo snel mogelijk nadat de patiënt is gestopt met het Compassionate Use Programma. De medicatie die op aanvraag wordt geleverd voor een individuele patiënt in het kader van een Compassionate Use Programma kan alleen voor die specifieke patiënt worden gebruikt.

Gegevens voor de registratie van vermoedens van onverwachte bijwerkingen	**Bijwerkingen die optreden bij patiënten die met Nexviadyme werden behandeld in een gepoolde analyse van klinische studies (N=138)**

Systeem/orgaanklasse	**Frequentie**	**Voorkeursterm**
Infecties en parasitaire aandoeningen	Soms	Conjunctivitis
Immuunsysteemaandoeningen	Zeer vaak Vaak	Overgevoeligheid Anafylaxie
Zenuwstelselaandoeningen	Vaak Vaak Vaak Soms Soms	Hoofdpijn Duizeligheid Tremor Paresthesie Somnolentie
Oogaandoeningen	Vaak Soms Soms Soms	Oculaire hyperemie Conjunctivale hyperemie Oculaire pruritus Traanproductie verhoogd
Hartaandoeningen	Soms Soms	Tachycardie Ventriculaire extrasystoles
Bloedvataandoeningen	Vaak Soms Soms	Hypertensie Overmatig blozen Hypotensie
Ademhalingsstelsel-, borstkas- en mediastinumaandoeningen	Vaak Vaak Soms Soms Soms Soms Soms	Hoest Dyspneu Tachypneu Larynxoedeem Ademnood Irritatie van de keel Dyspepsie
Maagdarmstelselaandoeningen	Vaak Vaak Vaak Vaak Vaak Soms Soms Soms Soms	Nausea Diarree Braken Lipzwelling Gezwollen tong Abdominale pijn Orale hypo-esthesie Orale paresthesie Dysfagie
Huid- en onderhuidaandoeningen	Vaak Vaak Vaak Vaak Vaak Soms Soms Soms	Pruritus Huiduitslag Urticaria Erytheem Palmair erytheem Angio-oedeem Hyperhidrose Verkleuring van de huid
Skeletspierstelsel- en bindweefselaandoeningen	Vaak Vaak Soms	Spierspasmen Myalgie Pijn in extremiteiten

	Algemene aandoeningen en toedieningsplaatsstoornissen	Vaak	Vermoeidheid
		Vaak	Koude rillingen
		Vaak	Ongemak op de borst
		Vaak	Pijn
		Vaak	Influenza-achtige ziekte
		Vaak	Pijn op de infusieplaats
		Soms	Aangezichtspijn
		Soms	Hyperthermie
		Soms	Extravasatie op de infusieplaats
		Soms	Gewrichtspijn op de infusieplaats
		Soms	Huiduitslag op de infusieplaats
		Soms	Reactie op de infusieplaats
		Soms	Urticaria op de infusieplaats
		Soms	Gelokaliseerd oedeem
		Soms	Perifere zwelling
		Soms	Pyrexie
		Soms	Asthenie
	Onderzoeken	Vaak	Bloeddruk verhoogd
		Vaak	Zuurstofsaturatie verlaagd
		Soms	Lichaamstemperatuur verhoogd
		Soms	Hartfrequentie verhoogd
		Soms	Abnormaal ademgeruis
		Soms	Complementfactor verhoogd
			Immuuncomplexspiegel verhoogd
	Tabel bevat behandelingsgerelateerde bijwerkingen die biologisch plausibel worden beschouwd als gerelateerd aan avalglucosidase alfa op basis van de Samenvatting van de Productkenmerken (SPC) van alglucosidase alfa. Vereisten: De behandelend arts wordt verzocht ten minste bijwerkingen, ernstige bijwerkingen en andere gegevens over geneesmiddelenbewaking te melden aan de hand van het documentatieformulier voor individuele veiligheidsinformatie (*Individual Safety Information,* ISI), binnen 24 uur na bewustwording, bij de lokale contactpersoon van Sanofi Pharmacovigilance.		