

INDLÆGSSEDDEL

Indlægsseddel: Information til brugeren

ASPAVELI 1080 mg infusionsvæske, opløsning pegcetacoplan

▼ Dette lægemiddel er underlagt supplerende overvågning. Dermed kan nye sikkerhedsoplysninger hurtigt tilvejebringes. Du kan hjælpe ved at indberette alle de bivirkninger, du får. Se sidst i punkt 4, hvordan du indberetter bivirkninger.

Læs denne indlægsseddel grundigt, inden du begynder at bruge dette lægemiddel, da den indeholder vigtige oplysninger.

- Gem indlægssedlen. Du kan få brug for at læse den igen.
- Spørg lægen, apotekspersonalet eller sygeplejersken, hvis der er mere, du vil vide.
- Lægen har ordineret dette lægemiddel til dig personligt. Lad derfor være med at give lægemidlet til andre. Det kan være skadeligt for andre, selvom de har de samme symptomer, som du har.
- Kontakt lægen, apotekspersonalet eller sygeplejersken, hvis du får bivirkninger, herunder bivirkninger, som ikke er nævnt i denne indlægsseddel. Se punkt 4.

Se den nyeste indlægsseddel på www.indlaegsseddel.dk.

Oversigt over indlægssedlen

1. Virkning og anvendelse
2. Det skal du vide, før du begynder at bruge ASPAVELI
3. Sådan skal du bruge ASPAVELI
4. Bivirkninger
5. Opbevaring
6. Pakningsstørrelser og yderligere oplysninger

1. Virkning og anvendelse

Hvad er ASPAVELI

ASPAVELI er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof pegcetacoplan. Pegcetacoplan er udviklet til at fastgøre sig på C3-komplementproteinet, hvilket er en del af kroppens immunforsvar, kaldet 'komplementsystemet'. Pegcetacoplan forhindrer kroppens immunsystem i at ødelægge dine røde blodlegemer.

Hvad anvendes ASPAVELI til

ASPAVELI anvendes til behandling af voksne patienter med en sygdom kaldet paroxysmisk nokturn hæmoglobinuri (PNH), som har anæmi som følge af denne sygdom.

Hos patienter med PNH er 'komplementsystemet' overaktivt, og det angriber patienternes røde blodlegemer, hvilket kan medføre lavt antal blodlegemer (anæmi), træthed, nedsat funktionsevne, smerter, mavesmerter, mørk urin, stakåndethed, synkebesvær, erektil dysfunktion (impotens) og blodpropdannelse. Ved at angribe og blokere C3-proteinet kan dette lægemiddel stoppe komplementsystemet, så de ikke angriber de røde blodlegemer, og derved kontrollere sygdomssymptomerne. Det er påvist, at dette lægemiddel øger antallet af røde blodlegemer (reducerer anæmi), hvilket kan forbedre disse symptomer.

2. Det skal du vide, før du begynder at bruge ASPAVELI

Brug ikke ASPAVELI

- hvis du er overfølsom over for pegcetacoplan eller et af de øvrige indholdsstoffer i dette lægemiddel (angivet i punkt 6).
- Hvis du har en infektion forårsaget af såkaldte indkapslede bakterier.

- Hvis du ikke er vaccineret mod *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* og *Haemophilus influenzae*.

Advarsler og forsigtighedsregler

Kontakt lægen, apotekspersonalet eller sygeplejersken, før du bruger ASPAVELI.

Symptomer på infektion

Fortæl det til din læge, hvis du har en infektion, inden du starter med ASPAVELI.

Da dette lægemiddel fokuserer på komplementsystemet, som er en del af kroppens forsvar mod infektion, øges din risiko for infektioner, herunder infektioner forårsaget af de såkaldte indkapslede bakterier, såsom *Streptococcus pneumoniae*, *Neisseria meningitidis* og *Haemophilus influenzae*, når du bruger dette lægemiddel. Det er alvorlige infektioner, som påvirker din næse, hals og dine lunger eller hjernehindene, og de kan sprede sig i blodet og hele kroppen.

Tal med din læge, inden du starter på ASPAVELI, for at være sikker på, at du får vaccination mod *Streptococcus pneumoniae*, *Neisseria meningitidis* og *Haemophilus influenzae*, hvis du ikke tidligere har fået disse vacciner. Du skal muligvis have yderligere vaccinationer, selvom du tidligere har fået disse vacciner, inden du starter på dette lægemiddel. Disse vaccinationer skal gives mindst 2 uger før påbegyndelse af behandlingen. Din læge vil ordinere antibiotika for at reducere risikoen for infektion i 2 uger efter, at du er blevet vaccineret, hvis du ikke kan vaccineres 2 uger før påbegyndelse af behandlingen. Din læge vil observere dig nøje for symptomer på infektion efter vaccinationen.

Infektionssymptomer

Fortæl det straks til din læge, hvis du oplever nogle af følgende symptomer:

- hovedpine og feber
- feber og udslæt
- feber med eller uden kulderystelser eller kuldegysen
- stakåndethed
- høj puls
- klam hud
- hovedpine med nakke- eller rygstivhed
- hovedpine med kvalme (du føler dig utilpas) eller opkastning
- lysfølsomhed
- muskelsmerter med influenzalignende symptomer
- forvirring
- store smerter eller ubehag

Sørg for at holde dig ajour med dine vaccinationer. Du skal være klar over, at vacciner nedsætter risikoen for alvorlige infektioner, men de forhindrer ikke alle alvorlige infektioner. Afhængigt af nationale retningslinjer kan lægen finde det nødvendigt med supplerende foranstaltninger, f.eks. antibiotika til at forebygge infektion.

Allergiske reaktioner

Nogle patienter kan opleve allergiske reaktioner. I tilfælde af en alvorlig allergisk reaktion skal du stoppe med infusionen af ASPAVELI, og du skal søge øjeblikkelig lægehjælp. En alvorlig allergisk reaktion kan være åndenød, brystmerter eller trykken for brystet og/eller svimmelhed, svær hudkløe eller hævede vabler på huden, hævelse i ansigtet, læberne, tungen og/eller halsen, som kan gøre det vanskeligt at synke.

Reaktioner på injektionsstedet

Der er observeret reaktioner på injektionsstedet med brugen af ASPAVELI. Du skal have passende træning i korrekt injektionsteknik inden selvadministration.

Laboratorieovervågning

Under behandlingen med ASPAVELI vil din læge foretage regelmæssige kontrolundersøgelser, herunder blodprøver for niveau af laktatdehydrogenase (LDH) og tests af nyrefunktionen, og lægen kan justere din dosis efter behov.

Virkning på laboratorietests

Brug af silica-reagenser i koagulationstests skal undgås, da det kan resultere i en kunstigt forlænget aktiveret partiel tromboplastintid (aPTT).

Børn og unge

Giv ikke dette lægemiddel til børn under 18 år, da der ikke foreligger data om dets sikkerhed og effekt hos denne gruppe.

Brug af andre lægemidler sammen med ASPAVELI

Fortæl altid lægen eller apotekspersonalet, hvis du bruger andre lægemidler, for nylig har brugt andre lægemidler eller planlægger at bruge andre lægemidler.

Graviditet, amning og frugtbarhed

Kvinder i den fertile alder

Lægemidlets virkning på det ufødte barn er ukendt. Det anbefales at anvende sikker kontraception under behandlingen og op til 8 uger efter behandlingen af kvinder, som kan blive gravide. Du skal spørge din læge til råds, før du tager dette lægemiddel.

Graviditet/amning

ASPAVELI bør ikke anvendes under graviditet og amning. Hvis du er gravid eller ammer, har mistanke om, at du er gravid, eller planlægger at blive gravid, skal du spørge din læge eller apotekspersonalet til råds, før du bruger dette lægemiddel.

Trafik- og arbejdssikkerhed

Dette lægemiddel påvirker ikke eller kun i ubetydelig grad evnen til at føre motorkøretøj og betjene maskiner.

ASPAVELI indeholder sorbitol

Sorbitol er en kilde til fructose. Hvis din læge har fortalt dig, at du har intolerance over for nogle sukkerarter, eller hvis du er blevet diagnosticeret med arvelig fructoseintolerans (HFI), en sjælden genetisk lidelse, hvor en person ikke kan nedbryde fructose, skal du tale med din læge, før du tager eller får dette lægemiddel.

ASPAVELI indeholder natrium

Dette lægemiddel indeholder mindre end 1 mmol natrium (23 mg) pr. dosis, dvs. det er i det væsentlige natriumfrit.

3. Sådan skal du bruge ASPAVELI

Brug altid lægemidlet nøjagtigt efter lægens anvisning. Er du i tvivl, så spørg lægen.

Din læge vil gennemgå din journal mindst 2 uger inden, du starter behandling med dette lægemiddel, og du skal måske have én eller flere vaccinationer. Din læge vil ordinere antibiotika for at reducere risikoen for infektion i 2 uger efter, at du er blevet vaccineret, hvis du ikke kan vaccineres mindst 2 uger før påbegyndelse af behandlingen med ASPAVELI.

Dosis

Den anbefalede initialdosis for voksne med PNH er 1080 mg to gange ugentligt. Du skal tage den to gange ugentlige dosis på dag 1 og dag 4 i hver behandlingsuge.

Hvis du skifter til ASPAVELI fra en anden type PNH-lægemiddel, kaldet en C5-hæmmer, skal du tage ASPAVELI i tillæg til din nuværende dosis af C5-hæmmer som ordineret i 4 uger. Efter 4 uger skal du stoppe med at tage din C5-hæmmer.

Dosis eller doseringsinterval må ikke ændres uden at rådføre dig med din læge. Din læge kan justere din dosis til 1080 mg hver tredje dag (f.eks. dag 1, dag 4, dag 7, dag 10, dag 13 og så videre), hvis relevant. Kontakt din læge snarest muligt, hvis du tror, at du har glemt en dosis.

Anvendelsesmåde og administrationsvej

ASPAVELI er beregnet til at gives som en infusion under huden med:

- en infusionspumpe eller
- et *on-body*-leveringssystem.

Du vil få de første doser lægemiddel af sundhedspersonale på en klinik eller et behandlingscenter. Hvis behandlingen går godt, vil din læge måske tale med dig om, at du muligvis selv kan indgive lægemidlet hjemme. Hvis det er relevant, vil en sundhedsperson lære dig eller en omsorgsgiver, hvordan du skal give infusionen til dig selv.

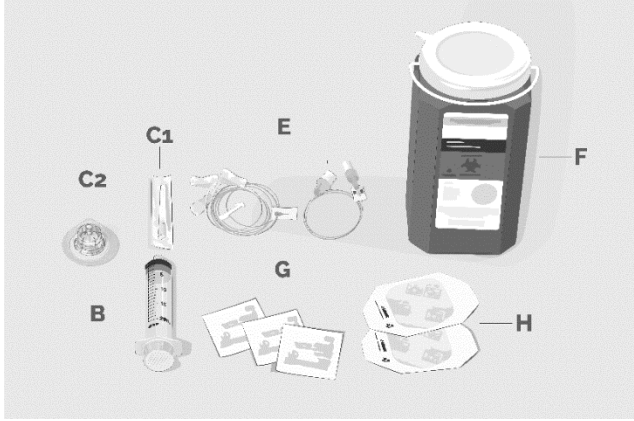
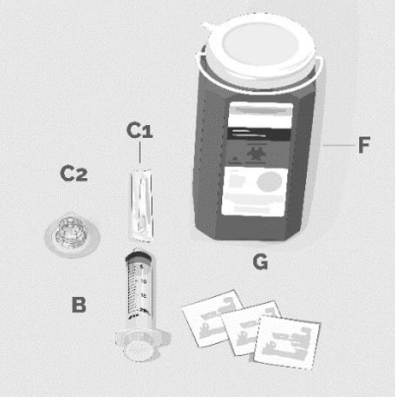
Infusionshastighed(er)

Med infusionspumpen er infusionstiden ca. 30 minutter, hvis du bruger 2 infusionssteder eller ca. 60 minutter, hvis du bruger 1 infusionssted.

Med *on-body*-leveringssystemet varierer infusionstiden typisk fra 30 til 60 minutter (afhængigt af hvor hurtigt lægemidlet flyder ind i kroppen).

Infusionen skal startes straks efter, at lægemidlet er trukket ind i sprøjten, og fuldføres inden for 2 timer efter klargøring af sprøjten.

Brugsanvisning – klargøring af sprøjten

Trin 1	Klargør til infusionen Inden du starter: 1. Tag en æske med et enkelt hætteglas ud af køleskabet. Bevar hætteglasset i æsken ved stuetemperatur, og lad det varme op i ca. 30 minutter. Forsøg ikke at accelerere opvarmningsprocessen med brug af en mikroovn eller anden varmekilde. 2. Find en flad arbejdsoverflade, f.eks. et bord med god belysning. 3. Saml dit udstyr: i) Ved brug af infusionspumpe (figur 1): A. Infusionspumpe med sprøjtesystem og anvisningerne fra fremstilleren (ikke vist) B. Kompatibel sprøjte - C1. Overførselsnål ELLER - C2. Overførselsenhed uden nål til at trække produktet op fra hætteglasset D. Infusionssæt (ikke vist; varierer afhængigt af anvisningerne fra fremstilleren af enheden) E. Infusionsslange og Y-konnektor (hvis nødvendigt) F. Kanylebeholder G. Spritservietter H. Gaze og tape, eller transparent forbindelse ELLER ii) Ved brug af et <i>on-body</i>-leveringssystem (figur 2): A. <i>On-body</i>-leveringssystem og anvisningerne fra fremstilleren (ikke vist) B. Kompatibel sprøjte - C1. Overførselsnål ELLER - C2. Overførselsenhed uden nål til at trække produktet op fra hætteglasset F. Kanylebeholder G. Spritservietter	Figur 1 Eksempel på udstyr (infusionspumpe) 
Rengør din arbejdsoverflade grundigt med en spritserviet. Vask dine hænder grundigt med sæbe og vand. Tør hænderne.		Figur 2 Eksempel på udstyr (<i>on-body</i>-leveringssystem) 

Trin 2	Tjek hætteglasset og væsken Tag hætteglasset ud af æsken. Undersøg væsken i hætteglasset omhyggeligt. ASPAVELI er en klar, farveløs til svagt gullig væske. Kontrollér for partikler eller farveændringer (figur 3). Brug ikke hætteglasset, hvis: • Væsken ser uklar ud, indeholder partikler eller er mørkegul. • Det beskyttende flip-låg mangler eller er beskadiget. • Udløbsdatoen (EXP) på etiketten er overskredet.	Figur 3 
---------------	--	--

Trin 3**Klargør og fyld sprøjten**

Tag det beskyttende flip-låg af hætteglasset, så den midterste del af hætteglassets grå gummiprop blotlægges (figur 4). Smid låget væk.

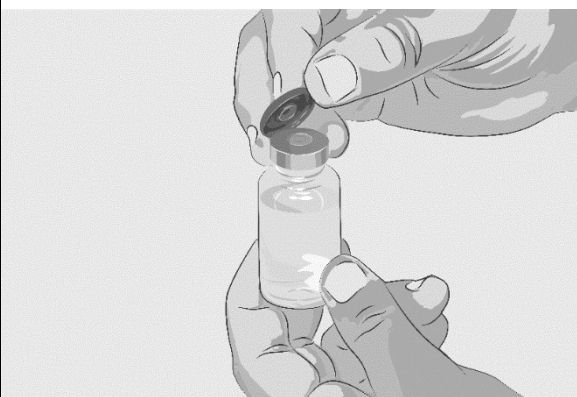
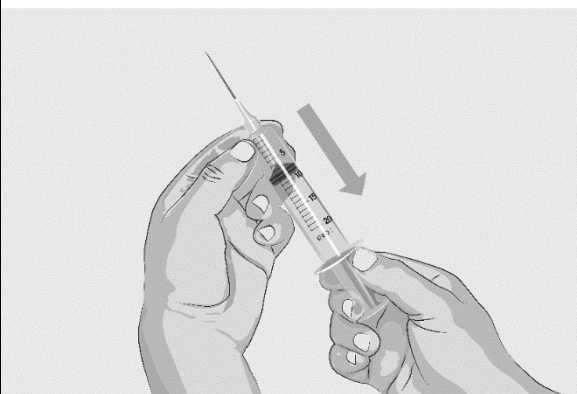
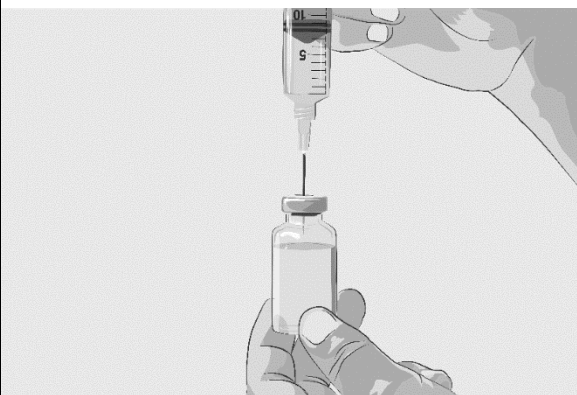
Rengør proppen med en ny spritserviet, og lad proppen tørre.

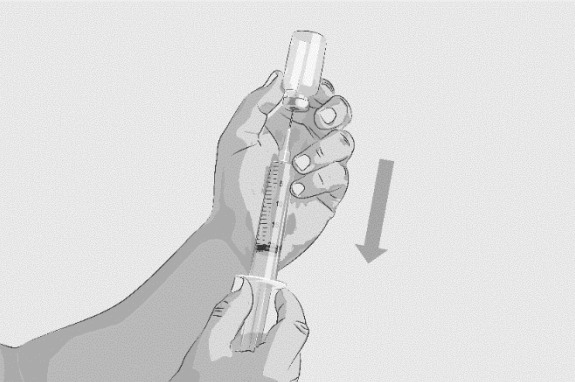
Mulighed 1: Hvis der bruges en overførselsenhed uden nål (f.eks. en hætteglasadapter), skal anvisningerne fra fremstilleren af enheden følges.

ELLER

Mulighed 2: Hvis der anvendes en overførselsnål og en sprøjte, skal nedenstående anvisninger følges:

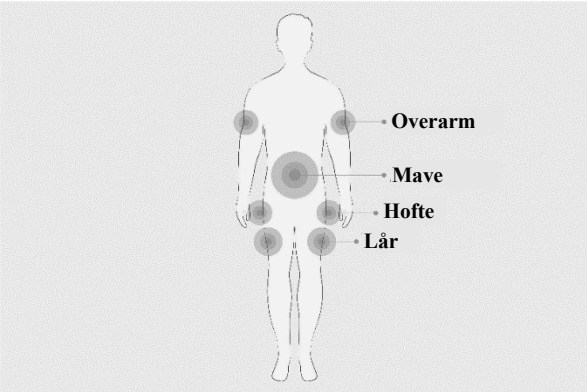
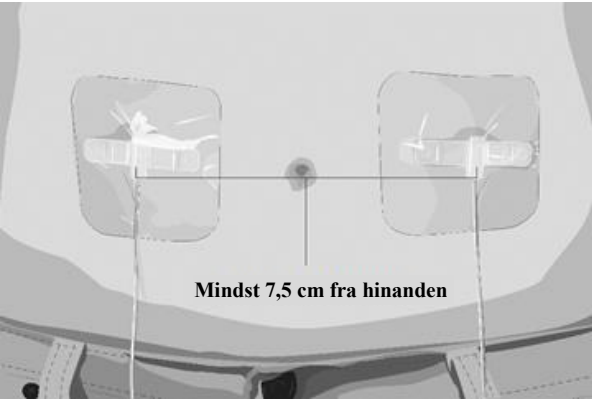
- A. Sæt en steril overførselsnål på en steril sprøjte.
- B. Træk stemplet tilbage for at fylde sprøjten med luft, hvilket vil være ca. 20 ml (figur 5).
- C. Sørg for, at hætteglasset er i opret stilling. Hætteglasset må IKKE vendes nedad. Tryk den luftfyldte sprøjte med påsat overførselsnål gennem midten af proppen på hætteglasset.
- D. Spidsen af overførselsnålen må ikke være i opløsningen for at undgå at danne bobler. (figur 6).
- E. Tryk forsigtigt luften fra sprøjten ind i hætteglasset. Dette vil injicere luften fra sprøjten ind i hætteglasset.
- F. Vend hætteglasset om (figur 7).

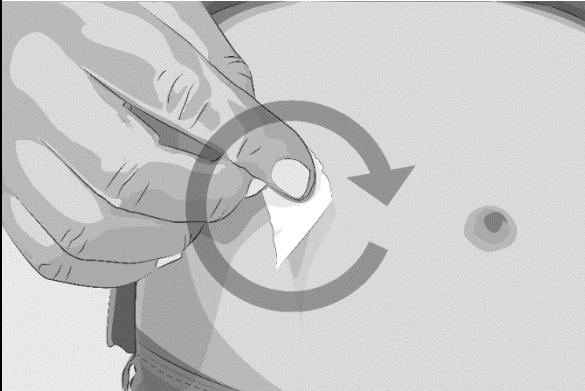
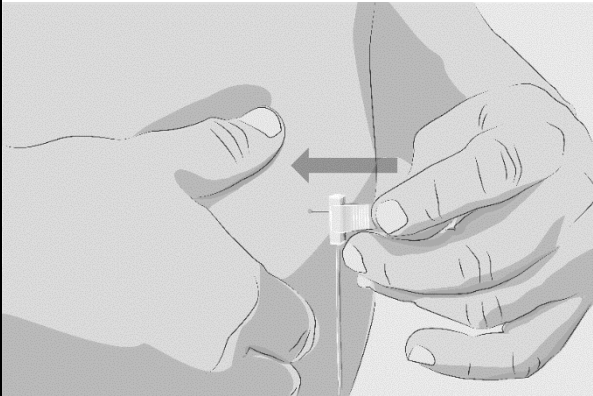
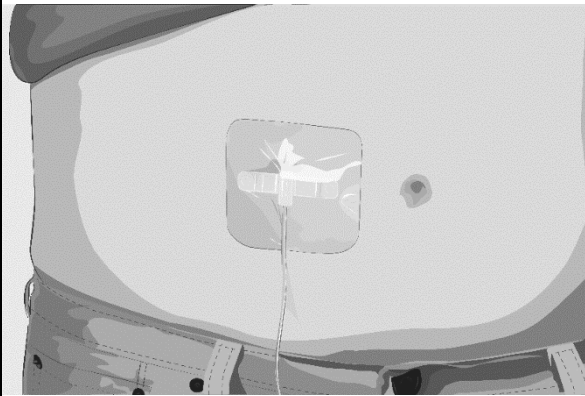
Figur 4**Figur 5****Figur 6****Figur 7**

	G. Træk langsomt i stemplet, mens overførselsnålens spids er i opløsningen, så sprøjten fyldes med den ordinerede dosis ASPAVELI (figur 8). H. Fjern den fyldte sprøjte og overførselsnålen fra hætteglasset. I. Sæt ikke låget tilbage på overførselsnålen. Skru nålen af, og kassér den i kanylebeholderen.	Figur 8 
--	---	--

Til infusion af produktet ved brug af et *on-body*-leveringssystem, følg anvisningerne fra fremstilleren af enheden. Smid alt brugt engangsudstyr væk samt eventuelt ubrugt produkt og det tomme hætteglas, som anbefalet af din sundhedsperson.

Til infusion af produktet ved brug af en infusionspumpe med sprøjtesystem, følg trinene nedenfor.

Trin 4	Klargør infusionspumpen med sprøjtesystem og slangen Få fat på infusionspumpeudstyret, og følg anvisningerne fra fremstilleren af enheden vedrørende klargøring af pumpen og slangen.	
Trin 5	Forbered infusionsstedet (infusionsstederne) A. Vælg et område på maven (bortset fra området 5 cm omkring navlen), lårene, hofterne eller overarmene til infusionen (infusionerne) (figur 9). B. Brug et andet sted end det sted, du brugte til din sidste infusion. Hvis der er flere infusionssteder, skal de være mindst 7,5 cm fra hinanden. Skift infusionssted mellem hver infusion (figur 10). C. Undgå følgende infusionsområder: - Infunder ikke i områder, hvor huden er øm, skadet, rød eller hård. - Undgå tatoveringer, ar eller strækmærker.	Figur 9  Figur 10  Mindst 7,5 cm fra hinanden

	D. Rens huden ved hvert infusionssted med en ny spritserviet, start ved midten og arbejd udad med en cirkulær bevægelse (figur 11). E. Lad huden tørre.	Figur 11 
Trin 6	Indfør og fiksér infusionsnålen(e) A. Klem huden mellem tommel- og pegefinger omkring infusionsstedet (hvor du påtænker at sætte nålen). Før nålen ind i huden (figur 12). Følg anvisningerne i nålevinkel fra fremstilleren af enheden. B. Fastgør nålen (nålene) med steril gaze og tape, eller en transparent forbinding over infusionsstedet (stederne) (figur 13).	Figur 12  Figur 13 
Trin 7	Start infusionen Følg anvisningerne for start af infusionen fra fremstilleren af enheden. Start infusionen straks efter, at opløsningen er trukket ind i sprøjten.	
Trin 8	Færdiggør infusionen Følg anvisningerne for færdiggørelsen af infusionen fra fremstilleren af enheden.	
Trin 9	Registrér infusionen Registrér din behandling som anvist af din sundhedsperson.	

Trin 10	Oprydning - Fjern forbindingen, og tag langsomt nålen (nålene) ud, når infusionen er fuldført. Dæk infusionsstedet med en ny forbindelse. - Frakobl infusionssættet af pumpen, og bortskaf det i kanylebeholderen (figur 14). - Smid alt brugt engangsudstyr væk samt eventuelt ubrugt produkt og det tomme hætteglas, som anbefalet af din sundhedsperson. - Rengør og opbevar infusionspumpen med sprøjtesystem ifølge anvisningerne fra fremstilleren.	Figur 14 
--------------------	---	--

Hvis du har glemt at bruge ASPAVELI

Hvis du glemmer en dosis, skal du tage den snarest muligt. Tag dernæst den næste dosis på det sædvanlige planlagte tidspunkt.

Hvis du holder op med at bruge ASPAVELI

PNH er en livslang tilstand, så det forventes, at du skal bruge dette lægemiddel i lang tid. Kontakt din læge først, hvis du ønsker at stoppe med at bruge lægemidlet. Hvis du stopper med at tage lægemidlet pludseligt, kan du risikere at forværre dine symptomer.

Hvis din læge beslutter at stoppe din behandling med dette lægemiddel, skal du følge hans/hendes anvisninger i, hvordan du stopper. Din læge vil holde dig under nøje observation i mindst 8 uger efter stop af behandlingen for eventuelle tegn på ødelæggelse af røde blodlegemer (hæmolyse) pga. PNH. Symptomer eller problemer, der kan opstå pga. ødelæggelse af røde blodlegemer omfatter:

- træthed
- stakåndethed
- blod i urinen
- smerter i maveområdet (abdomen)
- fald i antallet af røde blodlegemer
- blodproppdannelse (trombose)
- synkebesvær
- erektil dysfunktion hos mænd

Kontakt din læge, hvis du har nogle af disse tegn og symptomer.

4. Bivirkninger

Dette lægemiddel kan som alle andre lægemidler give bivirkninger, men ikke alle får bivirkninger.

Lægen vil inden behandlingen tale med dig om de mulige bivirkninger og forklare risici og fordele ved ASPAVELI.

Den mest alvorlige bivirkning er alvorlig infektion.

Fortæl det straks til din læge, hvis du oplever nogle af følgende symptomer (se punkt 2 ”Infektionssymptomer”).

Hvis du ikke helt forstår, hvad nedenstående bivirkninger er, kan du bede lægen forklare dem.

Meget almindelig (kan forekomme hos flere end 1 ud af 10 personer):

- Reaktioner på injektionsstedet: Disse omfatter rødme (erythem), hævelse, kløe (pruritus), blå mærker og smerter. Disse reaktioner forsvinder sædvanligvis i løbet af et par dage.
- Infektion i næsen, halsen eller luftvejene (øvre luftvejsinfektion)
- Diarré
- Ødelæggelse af røde blodlegemer (hæmolyse)
- Mavesmerter (abdominalsmerter)
- Hovedpine
- Træthed
- Feber eller forhøjet temperatur (pyreksi)
- Hoste
- Urinvejsinfektion
- Komplikationer i forbindelse med de obligatoriske vaccinationer
- Smerter i arme og ben (smerter i ekstremiteter)
- Svimmelhed
- Ledsmerter (artralgi)
- Rygsmerter

Almindelig (kan forekomme hos op til 1 ud af 10 personer):

- Reaktion på injektionsstedet, f.eks. rødme, hævelse eller hærdning af huden
- Infektion i øret, næsen eller munden
- Halssmerter
- Færre blodplader (trombocytopeni), som lettere kan medføre blødning eller blå mærker end normalt
- Kvalme (du føler dig utilpas)
- Nedsat kaliumniveau i blodet (hypokaliæmi)
- Næseblødning (epistaksis)
- Hudrødmen (erytem)
- Muskelsmerter (myalgi)
- Infektion i mave og tarme, som kan medføre symptomer på let til svær kvalme, opkastning, kramper, diarré (gastrointestinal infektion)
- Forhøjede leverprøver
- Vejrtrækningsbesvær (dyspnø)
- Mindre antal hvide blodlegemer (neutropeni)
- Nedsat nyrefunktion
- Anderledes urinfarve
- Højt blodtryk
- Muskelkramper
- Tilstoppet næse
- Udslæt
- Infektion i blodet (sepsis)
- Virusinfektion
- Svampeinfektion
- Luftvejsinfektion
- Øjeninfektion
- Nældefeber
- COVID-19
- Bakterieinfektion
- Vaginal infektion

Ikke almindelig (kan forekomme hos op til 1 ud af 100 personer):

- Livmoderhalsbetændelse
- Betændelse i lysken
- Næsebyld
- Lungebetændelse
- Tuberkulose
- Svampeinfektion i spiserøret

- Byld med pus ved endetarmen (analabsces)

Indberetning af bivirkninger

Hvis du oplever bivirkninger, bør du tale med din læge, apotekspersonalet eller sygeplejersken. Dette gælder også mulige bivirkninger, som ikke er medtaget i denne indlægsseddel. Du eller dine pårørende kan også indberette bivirkninger direkte til Lægemiddelstyrelsen via [det nationale rapporteringssystem anført i Appendiks V](#). Ved at indrapportere bivirkninger kan du hjælpe med at fremskaffe mere information om sikkerheden af dette lægemiddel.

5. Opbevaring

- Opbevares utilgængeligt for børn.
- Brug ikke lægemidlet efter den udløbsdato, der står på æsken efter ”EXP”. Udløbsdatoen er den sidste dag i den nævnte måned.
- Opbevares i køleskab (2 °C – 8 °C).
- Opbevares i den originale æske for at beskytte mod lys.
- Spørg apotekspersonalet, hvordan du skal bortskaffe lægemiddelrester. Af hensyn til miljøet må du ikke smide lægemiddelrester i afløbet, toilettet eller skraldespanden.

6. Pakningsstørrelser og yderligere oplysninger

ASPAVELI indeholder:

Aktivt stof: pegcetacoplan 1 080 mg (54 mg/ml i et 20 ml hætteglas).

Øvrige hjælpestoffer: sorbitol (E 420) (se punkt 2 “ASPAVELI indeholder sorbitol”), vandfri eddikesyre, natriumacetat trihydrat (se punkt 2 “ASPAVELI indeholder natrium”), natriumhydroxid (se punkt 2 “ASPAVELI indeholder natrium”), og vand til injektionsvæsker.

Udseende og pakningsstørrelser

ASPAVELI er en klar, farveløs til svagt gullig subkutan infusionsvæske, opløsning (54 mg/ml i et 20 ml hætteglas). Opløsninger, der er uklare eller har partikler eller farveændring må ikke anvendes.

Pakningsstørrelser

ASPAVELI leveres i en pakning med 1 hætteglas eller en multipakning med 1 × 8 hætteglas.

Bemærk venligst, at spritservietter, nåle og andet tilbehør eller udstyr ikke medfølger i pakningen.

Ikke alle pakningsstørrelser er nødvendigvis markedsført.

Indehaver af markedsføringstilladelsen

Swedish Orphan Biovitrum AB (publ)
SE-112 76 Stockholm
Sverige

Fremstiller

Swedish Orphan Biovitrum AB (publ)
Norra Stationsgatan 93
113 64 Stockholm
Sverige

Denne indlægsseddel blev senest ændret 10/2025.

Andre informationskilder

Du kan finde yderligere oplysninger om dette lægemiddel på Det Europæiske Lægemiddelagenturs hjemmeside: <https://www.ema.europa.eu>. Der er også links til andre websteder om sjældne sygdomme og om, hvordan de behandles.