

# Príručka s informáciami pre pacienta s aHUS a rodičov pacientov s aHUS



# SLOVNÍK POJMOV

## Atypický hemolyticko-uremický syndróm (aHUS)

Zriedkavé ochorenie spôsobené chronickou a nadmernou aktiváciou komplementového systému, ktorý je súčasťou normálneho imunitného systému. Nadmerne aktívny komplementový systém poškodzuje malé krvné cievy a spôsobuje tvorbu krvných zrazenín v celom tele, tento proces sa nazýva trombotická mikroangiopatia (TMA). TMA môže poškodiť mnohé orgány vrátane mozgu, obličiek a srdca.

## Červené krvinky (erytrocyty)

Krvné bunky, ktoré prenášajú kyslík pomocou proteínového komplexu nazývaného hemoglobín. Pri ochorení aHUS sa červené krvinky rozpadajú, keď prechádzajú cez upchaté a poškodené malé krvné cievy.

## Gonokoková infekcia

Pohlavne prenosná infekcia spôsobená baktériou *Neisseria gonorrhoeae* (nazývaná aj kvapavka). Môže sa šíriť a spôsobiť rozsiahlu infekciu krvi (sepsu).

## Hemolýza

Abnormálny rozpad červených krviniek, ktorý môže pri aHUS vyvolávať rôzne prejavy a príznaky.

## Chronická hemolýza

Dlhodobý (chronický) rozpad červených krviniek (hemolýza).

## Komplementový systém (známy aj ako komplementová kaskáda alebo len komplement)

Súčasť imunitného systému, ktorá za normálnych okolností ničí baktérie a iné cudzie bunky. Pri aHUS je komplement chronicky a nadmerne aktivovaný, čo spôsobuje poškodenie tkanív deštrukciou drobných krvných ciev a tvorbou krvných zrazenín, čo poškodzuje orgány vrátane mozgu, obličiek, srdca a iných orgánov.

## Krvné doštičky

Krvné doštičky sú krvné bunky, ktoré sa môžu navzájom spájať do zhlukov, a tým tvoriť krvné zrazeniny. Pri ochorení aHUS krvné doštičky veľmi ľahko tvoria krvné zrazeniny, a keďže sa spotrebujú pri tvorbe zrazenín, v krvných testoch možno odhaliť nízky počet krvných doštičiek v krvi.

## Krvné zrazeniny

V krvi sa môžu tvoriť zrazeniny na zastavenie krvácania, no pri ochorení aHUS je tvorba krvných zrazenín v krvi príliš veľká, čo spôsobuje upchávanie krvných ciev a poškodenie orgánov.

## Meningokoková infekcia

Infekcia spôsobená baktériou *Neisseria meningitidis* (nazývaná aj meningokok). Môže vyvolať meningitídu (zápal mozgových blán) alebo rozsiahlu infekciu krvi (sepsu).

## Porucha funkcie alebo zlyhanie obličiek

Stav, pri ktorom obličky zastavia prácu a nie sú schopné odstraňovať odpadové produkty, ani nie sú schopné regulovať množstvo vody a základné látky v tele.

## Trombotická mikroangiopatia (TMA)

Opisuje proces deštrukcie malých krvných ciev a tvorbu krvných zrazenín v týchto poškodených cievach pri ochorení aHUS. TMA je spôsobená chronickou a nadmernou aktiváciou komplementového systému a je príčinou poškodenia orgánov a ochorenia u pacientov s aHUS.

## Trombóza (trombotické príhody)

Vytvorenie krvnej zrazeniny, ktorá môže zastaviť prietok krvi v cieve. Pri ochorení aHUS sa môžu vytvárať krvné zrazeniny v malých krvných cievach, zvyčajne v mozgu, obličkách, srdci a iných orgánoch.

## ÚVOD

Táto príručka je určená pre dospelých a dospelievajúcich pacientov s atypickým hemolyticko-uremickým syndrómom (aHUS) a pre rodičov detí a dospelievajúcich s aHUS. V príručke nájdete informácie o SOLIRISE®, ako vám ho podajú a o dôležitých bezpečnostných informáciách, o ktorých musíte vedieť. Existuje aj iná príručka, špeciálne určená pre rodičov malých detí, ktorú vám poskytne lekár.

## ČO JE SOLIRIS®?

SOLIRIS® je liek, ktorý sa používa na liečbu pacientov s ochorením aHUS. Je to typ humanizovanej monoklonálnej protilátky. Protilátky sú látky, ktoré sa v krvi môžu viazať na špecifické ciele. Humanizovaná opisuje fakt, že ide o protilátku vyrobenú tak, aby sa čo najviac podobala na ľudské protilátky. Monoklonálna znamená, že celé liečivo pochádza z jednej pôvodnej protilátky, teda všetky protilátky sú presne rovnaké.

aHUS je ochorenie, pri ktorom je určitá časť prirodzeného imunitného systému, nazývaná komplementový systém, nadmerne aktívna obvykle v dôsledku genetickej poruchy normálnej regulácie komplementového systému. Komplementový systém je vždy pripravený zasiahnuť a keď je príliš aktívny, môže ničiť aj vlastné tkanivá a orgány. Pôsobí tak, že narúša malé krvné cievy a aktivuje tvorbu krvných zrazenín, ktoré blokujú prísun krvi do tkanív a orgánov. Medicínsky názov tohto procesu je trombotická mikroangiopatia (TMA). TMA môže pri ochorení aHUS poškodiť mnohé orgány vrátane obličiek, mozgu a srdca.

SOLIRIS® je protilátka, ktorá sa viaže na jednu časť komplementového systému, a tým ju vyraduje z činnosti. Takto SOLIRIS® zabraňuje/znižuje deštrukciu malých krvných ciev a tvorbu krvných zrazenín a zmierňuje príznaky a poškodenie orgánov pri ochorení aHUS. Keďže aHUS je chronické ochorenie, SOLIRIS® je určený na dlhodobú liečbu.

## ČASTO KLADENÉ OTÁZKY

AKÉ BEZPEČNOSTNÉ OPATRENIA SA SPÁJAJÚ S POUŽÍVANÍM SOLIRISU®?

### DÔLEŽITÉ BEZPEČNOSTNÉ INFORMÁCIE

Keďže SOLIRIS® blokuje časť imunitného systému, jeho používaním sa zvyšuje riziko závažnej infekcie a sepsy, a to najmä druhom baktérie nazývanej *Neisseria meningitidis*. Tá môže vyvolať prípady meningokokovej infekcie (závažná infekcia mozgových blán alebo/a infekcia krvi) a iných infekcií spôsobených inými druhmi *Neisseria* vrátane diseminovaných gonokokových infekcií.

**Takéto infekcie si vyžadujú bezodkladnú a príslušnú starostlivosť, pretože môžu rýchlo spôsobiť smrť alebo ohroziť život alebo mať za následok závažné postihnutie.**

Je dôležité, aby ste pochopili, čo máte robiť, na zníženie rizika týchto infekcií a ako máte postupovať v prípade podozrenia, že máte infekciu (pozri nižšie).

Ako bezpečnostné opatrenie:

**Minimálne 2 týždne pred začatím liečby SOLIRISOM® MUSIA VÁS ALEBO VAŠE DIEŤA ZAOČKOVAŤ** proti meningokokovej infekcii. Ak začnete vy **alebo vaše dieťa** liečbu SOLIRISOM® v čase kratšom ako 2 týždne po zaočkovaní proti meningitíde, **vy alebo vaše dieťa** budete musieť užívať antibiotiká počas 2 týždňov po zaočkovaní, aby sa znížilo riziko infekcie baktériou *Neisseria meningitidis*.

Ak nie je vakcína pre malé deti dostupná alebo je u vás alebo vášho dieťaťa podanie vakcíny kontraindikované, budú vám/vášmu dieťaťu podávať antibiotiká počas celého obdobia liečby alebo počas 2 týždňov odo dňa, kedy sa mala vakcína podať.

Deti a dospelých do veku 18 rokov bude potrebné zaočkovať proti baktérii *hemofilus (Haemophilus influenza)* a pneumokokovým infekciám minimálne 2 týždne pred začatím podávania SOLIRISU® a podľa národných odporúčaní pre očkovanie každej vekovej skupiny.

## AKÉ SÚ PRÍZNAKY, KTORÉ MA MAJÚPOČAS LIEČBY VAROVAŤ?

Očkovanie znižuje riziko rozvoja infekcie, ale nevylučuje riziko úplne.

**Budete si musieť všimnúť prejavy a príznaky infekcie a okamžite kontaktovať svojho lekára, ak sa objaví KTORÝKOLĽVEK z týchto príznakov:**

- Bolesť hlavy s nevoľnosťou alebo vracaním
- Bolesť hlavy so stuhnutosťou šije alebo chrbta
- Horúčka
- Vyrážka
- Zmätenosť
- Závažná bolesť svalov v kombinácii s príznakmi podobnými chrípke
- Citlivosť na svetlo



**Ak sa nemôžete spojiť so svojím lekárom, choďte na pohotovosť a ukážte im svoju Bezpečnostnú kartu pacienta.**



Pre rodičov/zákonných zástupcov novorodencov a dojčiat: **Pamätajte, že typické príznaky, ako sú bolesti hlavy, horúčka a stuhnutosť šije môžu byť ťažko rozpoznateľné**, a preto si u malých detí treba všimnúť aj iné príznaky zahŕňajúce nečinnosť, podráždenosť, vracanie a nezáujem o kŕmenie.

**Ak sa nemôžete spojiť s lekárom:**

**Choďte na pohotovosť a ukážte im svoju Bezpečnostnú kartu pacienta alebo svojho dieťaťa.**

## MUSÍM PRED ZAČATÍM LIEČBY PODSTÚPIŤ NEJAKÉ ÚKONY?

Pred začatím liečby vám lekár vysvetlí, prečo je dôležité:

- podstúpiť očkovanie proti meningitíde, a v niektorých prípadoch užívať špecifické antibiotiká na zníženie rizika infekcie typom baktérie nazývanej *Neisseria meningitidis*. Rozpoznať príznaky súvisiace s infekciou a čo robiť, ak sa tieto príznaky objavia.
- ak sa ide liečiť vaše dieťa, pochopiť prečo má byť dieťa zaočkované proti *Haemophilus influenzae* a pneumokokovým infekciám v súlade s národnými smernicami o očkovaní minimálne 2 týždne pred začatím liečby SOLIRISOM®.
- byť pod starostlivým dohľadom lekára v prípade akéhokoľvek prerušenia liečby SOLIRISOM®.

**Váš lekár alebo zdravotná sestra musia zabezpečiť, aby ste vy alebo vaše dieťa boli zaočkovaný proti meningokokovej infekcii minimálne 2 týždne pred prvým podaním infúzie. Ak začnete vy alebo vaše dieťa liečbu SOLIRISOM® v čase kratšom ako 2 týždne po zaočkovaní proti meningitíde, váš lekár alebo zdravotná sestra musia zabezpečiť, aby ste užívali antibiotiká počas 2 týždňov po očkovaní na zníženie rizika infekcie baktériou *Neisseria meningitidis*.**

Okrem toho vás budú počas celého obdobia liečby pozorne sledovať, či sa u vás nerozvíja meningokoková a iná infekcia.

## AKO PREBIEHA ZAČIATOK LIEČBY SOLIRISOM®?

SOLIRIS® vám musí predpísať lekár.

Dostanete aj štartovací balíček s týmto obsahom:

- **Bezpečnostná karta pacienta:** U pacientov, ktorí sa liečia SOLIRISOM® je veľmi dôležité vedieť rýchlo rozpoznať a liečiť určité druhy infekcií; preto dostanete Bezpečnostnú kartu pacienta, na ktorej sú uvedené konkrétne príznaky, ktoré si máte vždy všímať. Túto kartu máte nosiť celý čas pri sebe a ukázať ju každému lekárovi, ktorého navštívite.
- **Príručka s informáciami pre pacienta s aHUS a pre rodičov pacientov s aHUS.**
- **Rodičia/zákonní zástupcovia malých detí dostanú príručku pre rodičov detí s aHUS.**

## AKO SA SOLIRIS® PODÁVA?

SOLIRIS® sa podáva ako **intravenózna infúzia** (podanie roztoku do žily). Infúzia trvá **25 až 45 minút**. Infúziu musí pripraviť a podať lekár alebo iný zdravotník s vhodnou kvalifikáciou.

Tak ako všetky lieky podávané vo forme intravenózneho infúzie, aj SOLIRIS® môže vyvolať okamžité alebo oneskorené reakcie. V takom prípade sa obráťte na svojho lekára.

**Vzhľadom na riziko novej reakcie na infúziu (vrátane alergickej reakcie) budete po každej infúzii monitorovaní približne jednu hodinu. Dôsledne dodržiavajte pokyny lekára.**

## V AKEJ DÁVKE SA SOLIRIS® PODÁVA?

### Dospelí:

#### Úvodná fáza

Počas prvých štyroch týždňov vám lekár každý týždeň podá intravenóznú infúziu nariedeného SOLIRISU®. Každá infúzia bude obsahovať dávku 900 mg (3 injekčné liekovky po 30 ml) a bude trvať 25 – 45 minút.



#### Udržiavacia fáza

V piatom týždni vám lekár podá intravenóznú infúziu nariedeného SOLIRISU® v dávke 1 200 mg (4 injekčné liekovky po 30 ml) v priebehu 25 – 45 minút. Po piatom týždni vám lekár bude v rámci dlhodobej liečby podávať každé dva týždne dávku 1 200 mg (4 injekčné liekovky po 30 ml).

### Deti a dospievajúci:

| Telesná hmotnosť | Úvodná fáza         | Udržiavacia fáza                                   |
|------------------|---------------------|--|
| ≥40 kg           | 900 mg týždenne x 4 | 1 200 mg v 5. týždni; potom 1 200mg každé 2 týždne |
| 30 až <40 kg     | 600 mg týždenne x 2 | 900 mg v 3. týždni; potom 900 mg každé 2 týždne    |
| 20 až <30 kg     | 600 mg týždenne x 2 | 600 mg v 3. týždni; potom 600 mg každé 2 týždne    |
| 10 až <20 kg     | 600 mg týždenne x 1 | 300 mg v 2. týždni; potom 300 mg každé 2 týždne    |
| 5 až <10 kg      | 300 mg týždenne x 1 | 300 mg v 2. týždni; potom 300 mg každé 3 týždne    |

Deti a dospievajúci s aHUS, ktorí vážia 40 kg a viac sa budú liečiť dávkami ako dospelí.

Deti a dospievajúci s aHUS, ktorí vážia do 40 kg musia dostávať nižšiu dávku, zodpovedajúcu ich telesnej hmotnosti. Dávky vypočíta váš lekár.

Je veľmi dôležité, aby sa zabezpečilo, že **nevynecháte, ani sa neoneskoríte na žiadne naplánované podanie SOLIRISU®**, aby sa neprerušilo tlmenie trombotickej mikroangiopatie, a aby ste mohli naplno využiť prínosy liečby SOLIRISOM®.

## **AKO DLHO BUDEM MUSIEŤ POUŽÍVAŤ SOLIRIS®?**

Keďže **aHUS je chronické ochorenie**, SOLIRIS® je určený na **dlhodobú liečbu**.

Pacienti, ktorí začnú liečbu SOLIRISOM®, majú v liečbe SOLIRISOM® pokračovať, aj keď sa ich stav zlepší.

Prerušenie alebo ukončenie liečby SOLIRISOM® môže spôsobiť návrat príznakov ochorenia aHUS po ukončení liečby SOLIRISOM®.

U niektorých pacientov, ktorí ukončili liečbu SOLIRISOM®, sa vrátili prejavy a príznaky ochorenia aHUS. Liečba SOLIRISOM® sa nemá ukončiť bez toho, aby ste sa o tom poradili so svojim lekárom a bez lekárskeho dohľadu.

**Ak máte v úmysle ukončiť liečbu SOLIRISOM®, poraďte sa predtým so svojim lekárom o možných vedľajších účinkoch a rizikách, medzi ktoré patrí aj opätovné spustenie deštrukcie malých krvných ciev a tvorba krvných zrazenín. To môže spôsobiť:**

- Príznaky, ktoré sa u vás môžu objaviť: znížená tvorba moču (problémy s obličkami), zmätenosť alebo zmena pozornosti.
- Podľa výsledkov vyšetrenia krvi: významný pokles množstva krvných doštičiek v dôsledku ich spotrebovania na tvorbu krvných zrazenín, významný nárast množstva rozpadnutých červených krviniek, nárast hladiny kreatinínu v sére (problémy s obličkami).
- Bolesť na hrudi alebo angina pectoris, dýchavičnosť.

## SÚ S POUŽÍVANÍM LIEKU SOLIRIS® SPOJENÉ NEJAKÉ ĎALŠIE RIZIKÁ?

### Riziko infekcie

Vzhľadom na mechanizmus účinku SOLIRISU® v tele, sa má liek podávať opatrne, ak máte aktívnu systémovú infekciu.

Môžete mať tiež riziko inej infekcie s baktériami nazývanými *Neisseria* vrátane diseminovanej gonokokovej infekcie. Ak máte riziko kvapavky (pohlavne prenosná infekcia), pred použitím tohto lieku sa poraďte so svojím lekárom alebo lekárnikom.

### Alergické reakcie

SOLIRIS® obsahuje bielkovinu a bielkoviny môžu u niektorých ľudí vyvolať alergické reakcie. Ak po podaní SOLIRISU® spozorujete akékoľvek prejavy a príznaky alergie, musíte sa poradiť s lekárom.

### Užívanie iných liekov

Je dôležité vedieť, že niektoré lieky, ktoré užívate, nemôžete nahradiť inými bez toho, aby ste sa poradili so svojím lekárom. Preto svojho lekára informujte o všetkých liekoch, ktoré užívate.

### Starší ľudia

S liečbou pacientov vo veku 65 rokov a starších nie sú žiadne špeciálne opatrenia.

### Vedľajšie účinky

SOLIRIS® sa obvyčajne dobre znáša. Najčastejšie hlásené vedľajšie účinky sú bolesť hlavy a nízky počet bielych krviniek (leukopénia) a najzávažnejší vedľajší účinok je meningokoková infekcia. Bolesť hlavy boli väčšinou mierne a po úvodnej fáze podávania SOLIRISU® odzneli.



## Hlásenie vedľajších účinkov

Ak sa u vás vyskytne akýkoľvek vedľajší účinok, obráťte sa na svojho lekára, lekárnika alebo zdravotnú sestru. To sa týka aj akýchkoľvek vedľajších účinkov, ktoré nie sú uvedené v tejto písomnej informácii. Vedľajšie účinky môžete hlásiť aj priamo na Štátny ústav pre kontrolu liečiv, Sekcia klinického skúšania liekov a farmakovigilancie, Kvetná 11, 825 08 Bratislava 26, tel: + 421 2 507 01 206, internetová stránka: <http://www.sukl.sk/sk/bezpecnost-liekov>, e-mail:

[neziaduce.ucinky@sukl.sk](mailto:neziaduce.ucinky@sukl.sk). Podozrenia na nežiaduce reakcie môžete na ŠUKL nahlásiť aj pomocou elektronického formulára, ktorý sa nachádza na internetovej stránke

ŠÚKL: <https://portal.sukl.sk/eskadra/>. Ak sa hlásenie týka biologického lieku je potrebné do hlásenia doplniť aj číslo šarže lieku.

Hlásením vedľajších účinkov môžete prispieť k získaniu ďalších informácií o bezpečnosti tohto lieku.

Vedľajšie účinky môžete tiež hlásiť do spoločnosti Swixx Biopharma s. r. o., Bratislava, Slovensko, lokálnemu partnerovi Alexionu, e-mail: [medinfo.slovakia@swixxbiopharma.com](mailto:medinfo.slovakia@swixxbiopharma.com).

## V rámci služieb vzdelávania pacientov poskytuje Alexion Europe.

Ak potrebujete ďalšie informácie o SOLIRIS<sup>®</sup>, kontaktujte Swixx Biopharma s. r. o., Bratislava, Slovensko, lokálneho partnera Alexionu na adrese email:

[medinfo.slovakia@swixxbiopharma.com](mailto:medinfo.slovakia@swixxbiopharma.com).

Jún 2020

---



Alexion Europe SAS  
103-105 rue Anatole France  
92300 Levallois-Perret – FRANCÚZSKO



SOLIRIS<sup>®</sup> je ochranná známka spoločnosti Alexion Pharmaceuticals, Inc. Copyright © 2019, Alexion Pharmaceuticals, Inc. Všetky práva vyhradené.

---