

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

**SOLIRIS**[®]
(eculizumab)

**ALEXION**[™]

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 cievy a spôsobuje tvorbu krvných zrazenín v celom tele – tento proces sa nazýva trombotická mikroangiopatia (TMA). TMA môže poškodzovať mnohé orgány vrátane mozgu, obličiek a srdca.

Krvné zrazeniny

V krvi sa môžu tvoriť krvné zrazeniny, čo je potrebné pri zastavení krvácania, avšak pri ochorení aHUS je tvorba krvných zrazenín príliš veľká, čo spôsobuje upchávanie ciev a následné poškodenie orgánov.

Hemolýza

Abnormálny rozpad červených krviniek, ktorý môže u pacientov s 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 normálneho stavu ničí baktérie a iné cudzie bunky. Pri aHUS je komplement chronicky a nadmerne aktivovaný, čo spôsobuje poškodzovanie vlastných tkanív deštrukciou drobných ciev a tvorbou krvných zrazenín. To spôsobuje poškodenie rôznych orgánov vrátane mozgu, obličiek, srdca a iných orgánov.

Gonokoková infekcia

Infekcia pohlavne prenosná a spôsobená baktériou *Neisseria gonorrhoeae* (tiež nazývaná kvapavka). Môže sa šíriť a spôsobiť rozsiahlu infekciu krvi (sepsa).

Porucha funkcie alebo zlyhanie obličiek

Stav, keď obličky prestávajú pracovať a nie sú schopné odstraňovať odpadové produkty, ani regulovať množstvo vody a iných základných látok v tele.

Meningokoková infekcia

Infekcia spôsobená baktériou *Neisseria meningitidis* (známa aj ako meningokok). Tá môže vyvolať meningitídu (zápal mozgových blán) alebo rozsiahlu infekciu krvi (sepsu).

Krvné doštičky

Krvné doštičky sú krvné bunky, ktoré sa môžu navzájom spájať do zhlukov a tým tvoriť krvné zrazeniny. Pri ochorení aHUS doštičky veľmi ľahko tvoria krvné zrazeniny, takže pri rozbere krvi – keďže veľa doštičiek sa spotrebúva na tvorbu zrazenín – sa môže zistiť, že pacient má v krvi málo doštičiek.

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 drobné cievy.

Trombóza (trombotické príhody)

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

Trombotická mikroangiopatia (TMA)

Proces prebiehajúci v tele pacienta s aHUS, pri ktorom dochádza k deštrukcii drobných krvných ciev a tvorbe krvných zrazenín v týchto poškodených cievach. TMA je spôsobená chronickou a nadmernou aktiváciou komplementového systému a je príčinou poškodenia orgánov a ochorenia u pacientov s aHUS.

ÚVOD

Táto príručka je určená pre dospelých a dospievajúcich pacientov s atypickým hemolyticko-uremickým syndrómom (aHUS) a pre rodičov detí a adolescentov s aHUS. V príručke nájdete informácie o lieku SOLIRIS®, spôsobe jeho podávania a tiež veľmi dôležité bezpečnostné informácie, ktorých si musíte byť vedomí. Existuje aj iná príručka, špeciálne určená pre rodičov malých detí, ktorú vám môže poskytnúť váš lekár.

ČO JE SOLIRIS®?

SOLIRIS® je liek určený na liečbu ochorenia aHUS. Je to typ humanizovanej monoklonálnej protilátky. Protilátky sú látky, ktoré sa v krvi môžu viazať na určité ciele. Humanizovaná znamená, 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 rovnaké.

aHUS je ochorenie, pri ktorom je určitá časť prirodzeného imunitného systému, nazývaná komplementový systém, nadmerne aktívna obvykle v dôsledku genetickej poruchy 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 drobné 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 poškodzovať 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 liek SOLIRIS® bráni/znižuje deštrukciu drobných ciev a tvorbu krvných zrazenín a zmierňuje chorobné prejavy a poškodzovanie orgánov pri ochorení aHUS. Keďže aHUS je chronické ochorenie, SOLIRIS® je určený na dlhodobú liečbu.

ČASTÉ OTÁZKY

AKÉ RIZIKÁ SA SPÁJAJÚ S UŽÍVANÍM LIEKU SOLIRIS®?

DÔLEŽITÉ BEZPEČNOSTNÉ INFORMÁCIE

Keďže SOLIRIS® blokuje časť imunitného systému, jeho užívaním sa zvyšuje riziko vážnej infekcie a sepsy, a to najmä baktériou *Neisseria meningitidis*. Tá môže vyvolať prípady meningokokovej infekcie (závažná infekcia mozgu alebo infekcie krvi) a iných infekcií spôsobenými inými druhmi *Neisseria*, vrátane diseminovaných gonokokových infekcií.

Pri takýchto infekciách je nutné bezodkladné nasadenie správnej liečby, pretože môžu rýchlo spôsobiť smrť alebo prejsť do život ohrozujúceho stavu alebo spôsobiť vážne postihnutie.

Je dôležité, aby ste vedeli, čo máte robiť, aby ste znížili riziko takýchto infekcií, a ako máte postupovať v prípade podozrenia, že máte infekciu (pozri nižšie).

Bezpečnostné opatrenie:

Proti meningokokovej infekcii MUSIA VÁS ALEBO VAŠE DIEŤA ZAOČKOVÁŤ najmenej 2 týždne pred začatím užívania lieku SOLIRIS®. Ak sa vy alebo vaše dieťa začnete liečiť liekom SOLIRIS® menej ako 2 týždne po absolvovaní očkovania proti meningitíde, vy alebo vaše dieťa budete musieť užívať antibiotiká počas 2 týždňov po očkovaní, 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 profylakticky podávať antibiotiká počas celého obdobia liečby alebo počas nasledujúcich 2 týždňov odo dňa, kedy je možné vakcínu podať.

Deti a adolescentov do veku 18 rokov bude potrebné zaočkovať proti baktérii *hemofilus* a pneumokokovým infekciám 2 týždne pred začatím podávania lieku SOLIRIS® a podľa národných odporúčaní pre očkovanie každej vekovej skupiny.

AKÉ PRÍZNAKY BY MA MALI POČAS LIEČBY VAROVAŤ?

Očkovanie znižuje riziko rozvoja infekcie, ale nevylučuje riziko úplne.

Budete si musieť všímať prejavy a príznaky infekcie a okamžite kontaktovať svojho lekára, ak sa objaví KTORÝKOL'VEK z nasledujúcich príznakov:

- Bolesť hlavy s nevoľnosťou alebo vracaním
- Bolesť hlavy so stuhnutosťou šije alebo chrbta
- Horúčka
- Vyrážka
- Zmätenosť
- Výrazná bolesť svalov spojená s príznakmi ako pri chrípke
- Svetloplachosť



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



Pre rodičov/zákonných zástupcov novorodencov a dojčiat: **Pamätajte, že typické príznaky ako bolesti hlavy, horúčka a stuhnutosť šije môžu byť ťažko rozpoznateľné** a preto si u dojčiat treba všímať aj iné príznaky ako nečinnosť, podráždenosť, vracanie a nezájum 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 ABSOLVOVAŤ NEJAKÉ ÚKONY?

Pred začatím liečby vám lekár vysvetlí, prečo je dôležité:

- absolvovať očkovanie proti meningitíde a v niektorých prípadoch užívať určité antibiotiká na zníženie rizika infekcie baktériou *Neisseria meningitidis*. Poznať príznaky infekcie a postup v prípade spozorovania týchto príznakov,
- ak ide o liečbu vášho dieťaťa, pochopiť potrebu zaočkovania dieťaťa proti *Haemophilus influenzae* a pneumokokovým infekciám v súlade s národnými smernicami o očkovaní najmenej 2 týždne pred začatím podávania lieku SOLIRIS[®],
- byť pod starostlivým dohľadom lekára v prípade akéhokoľvek vysadenia lieku SOLIRIS[®].

Váš lekár alebo ošetrovateľ musí zabezpečiť, aby ste vy alebo vaše dieťa absolvovali očkovanie aspoň 2 týždne pred prvou infúziou. Ak sa vy alebo vaše dieťa začnete liečiť liekom SOLIRIS[®] menej ako 2 týždne po absolvovaní očkovania proti meningitíde, váš lekár alebo ošetrovateľ musí zabezpečiť, aby ste užívali určité antibiotiká počas 2 týždňov po očkovaní na zníženie rizika infekcie baktériou *Neisseria meningitidis*.

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

AKO PREBIEHA ZAČIATOK TERAPIE LIEKOM SOLIRIS[®]?

SOLIRIS[®] vám musí predpísať lekár.

Súčasne dostanete balíček pre nového pacienta s týmto obsahom:

- **Bezpečnostná karta pacienta:** U pacientov užívajúcich SOLIRIS[®] je veľmi dôležité vedieť rýchlo rozpoznať a liečiť určité druhy infekcií; preto dostanete Bezpečnostnú kartu pacienta, na ktorej sú uvedené konkrétne príznaky, ktoré by ste si mali vždy všímať. Túto kartu by ste mali mať vždy so sebou a ukázať ju každému lekárovi, ktorého navštívite.
- **Brožúra s informáciami pre pacientov s aHUS a pre rodičov pacientov s aHUS.**
- **Rodičia/zákonní zástupcovia malých detí dostanú príručku pre rodičov detí s aHUS.**
- Lekár vám/vášmu dieťaťu ponúkne možnosť zaradiť sa do registra **aHUS Registry**. Do tohto registra vás/vaše dieťa môže zaradiť iba váš lekár.

AKO SA SOLIRIS® PODÁVA?

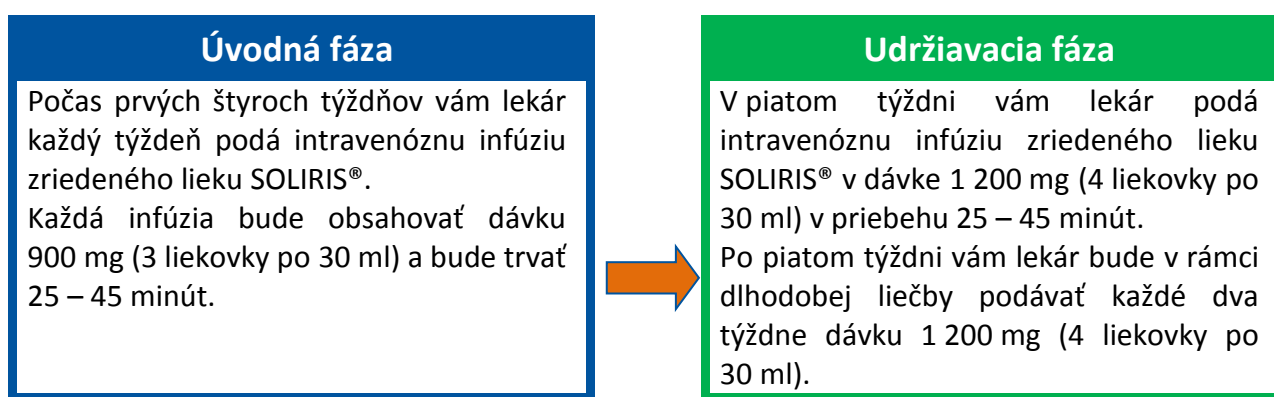
SOLIRIS® sa podáva ako **intravenózna infúzia** (podanie roztoku do žily). Infúzia trvá **25 až 45 minút**. Infúziu musí pripraviť a podať lekár alebo iný zdravotník s vhodnou kvalifikáciou.

Tak ako všetky lieky podávané formou 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 AKÝCH DÁVKACH SA SOLIRIS® PODÁVA?

Dospelí:



Deti a adolescenti:

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
od 30 do <40 kg	600 mg týždenne x 2	900 mg v 3. týždni; potom 900 mg každé 2 týždne
od 20 do <30 kg	600 mg týždenne x 2	600 mg v 3. týždni; potom 600 mg každé 2 týždne
od 10 do <20 kg	600 mg týždenne x 1	300 mg v 2. týždni; potom 300 mg každé 2 týždne
od 5 do <10 kg	300 mg týždenne x 1	300 mg v 2. týždni; potom 300 mg každé 3 týždne

Deti a adolescenti s aHUS a telesnou hmotnosťou 40 kg a viac dostávajú dávky ako dospelí.

Deti a adolescenti s aHUS s telesnou hmotnosťou pod 40 kg musia dostávať menšie dávky, zodpovedajúce ich telesnej hmotnosti. Dávky vypočíta váš lekár.

Je veľmi dôležité, aby ste **nevynechali, ani sa neoneskorili na žiadne naplánované podanie lieku SOLIRIS®**, aby sa neprerušilo tlmenie trombotickej mikroangiopatie, a aby ste mohli naplno využiť prínosy liečby liekom SOLIRIS®.

AKO DLHO BUDEM MUSIEŤ UŽÍVAŤ SOLIRIS®?

Keďže aHUS je chronické ochorenie, SOLIRIS® sa podáva ako **dlhodobá liečba**.

Pacienti, ktorí začnú užívať SOLIRIS®, by mali v užívaní lieku SOLIRIS® pokračovať, aj keď sa ich stav zlepší.

Prerušenie alebo ukončenie užívania lieku SOLIRIS® môže spôsobiť návrat príznakov ochorenia aHUS po skončení užívania lieku SOLIRIS®.

U niektorých pacientov, ktorí prestali užívať SOLIRIS®, sa vrátili prejavy a príznaky ochorenia aHUS. SOLIRIS® by ste nemali prestať užívať bez toho, aby ste sa o tom poradili so svojím lekárom a bez lekárskeho dohľadu.

Ak máte v úmysle ukončiť liečbu liekom SOLIRIS®, poraďte sa predtým so svojím lekárom o možných vedľajších účinkoch a rizikách, medzi ktoré patrí aj opätovné spustenie deštrukcie drobných ciev a tvorby krvných zrazenín. To môže spôsobiť:

- Príznaky, ktoré sa u vás môžu objaviť: znížená tvorba moču (problémy s obličkami), zmätenosť alebo zmena pozornosti.
- Podľa výsledkov rozboru 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 hrudníku alebo angina pectoris, dýchavičnosť.

SÚ S UŽÍVANÍM LIEKU SOLIRIS® SPOJENÉ NEJAKÉ ĎALŠIE RIZIKÁ?

Riziko infekcie

Vzhľadom na mechanizmus pôsobenia lieku SOLIRIS® v tele, sa má liek podávať opatrne, ak máte aktívnu systémovú infekciu.

Môžete byť tiež vystavení riziku inej infekcie baktériami druhu Neisseria vrátane diseminovanej gonokokovej infekcie. Ak máte riziko kvapavky, pred použitím tohto lieku sa poraďte so svojím lekárom alebo lekárnikom.

Alergické reakcie

SOLIRIS® obsahuje proteín a proteíny môžu u niektorých ľudí vyvolať alergické reakcie. Ak po podaní lieku SOLIRIS® spozorujete akékoľvek prejavy a príznaky alergie, mali by ste 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.

Tehotenstvo

SOLIRIS® sa neodporúča užívať počas tehotenstva. Ak ste tehotná alebo plánujete otehotnieť, povedzte o tom svojmu lekárovi ešte pred začatím podávania lieku SOLIRIS®.

Ženy vo fertilnom veku majú počas liečby a počas nasledujúcich 5 mesiacov po ukončení liečby používať primerané antikoncepcné metódy.

Dojčenie

SOLIRIS® môže prechádzať cez materské mlieko do tela vášho dieťaťa. Preto by ste počas užívania lieku SOLIRIS®, ani počas nasledujúcich 5 mesiacov od ukončenia liečby nemali dojčiť.

Seniori

S liečbou pacientov vo veku nad 65 rokov nie sú spojené žiadne zvláštne opatrenia.

Vedľajšie účinky

SOLIRIS® sa obvyčajne dobre znáša. Medzi najčastejšie hlásené vedľajšie účinky patria bolesti hlavy a nízky počet bielych krviniek (leukopénia); najväznejší vedľajší účinok je meningokoková infekcia. Bolesti hlavy boli väčšinou len mierne a po úvodnej fáze podávania lieku SOLIRIS® odzneli.

ODKAZY

01. Aktuálna Písomná informácia pre používateľov priložená k lieku SOLIRIS® (ekulizumab). Alexion Europe.

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. Podozrenia na nežiaduce reakcie môžete na ŠUKL nahlásiť aj pomocou elektronického formulára, ktorý sa nachádza na internetovej stránke ŠÚKL: <https://portal.sukl.sk/eskadra/>. Hlásením vedľajších účinkov môžete prispieť k získaniu ďalších informácií o bezpečnosti tohto lieku.

V rámci služieb vzdelávania pacientov poskytuje Alexion Europe.

V prípade pochybností ohľadom bezpečnosti volajte do spoločnosti Swixx Biopharma s. r. o., Bratislava, Slovensko, lokálnemu partnerovi Alexionu, na telefónne číslo +421 905 747 753, alebo pošlite e-mail: medinfo.slovakia@swixxbiopharma.com



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



SOLIRIS® je ochranná známka spoločnosti Alexion Pharmaceuticals, Inc. Copyright © 2017, Alexion Pharmaceuticals, Inc. Všetky práva vyhradené.