

Príručka s informáciami pre pacientov s PNH a pre rodičov pacientov s PNH



SLOVNÍK POJMOV

Anémia

Stav, v ktorom ľudské telo nemá dostatok červených krviniek; to môže viesť k únave a iným príznakom.

Antikoagulancia

Antikoagulanciá, niekedy označované ako prostriedky na riedenie krvi, sú lieky, ktoré znižujú zrážanlivosť krvi a pomáhajú predchádzať tvorbe krvných zrazenín.

Krvné zrazeniny

Keď sa zlepi veľa krvných doštičiek, vytvoria krvnú zrazeninu. Tá môže, v závislosti od jej veľkosti a miesta výskytu, zablokovať prietok krvi v žile alebo tepne (pozri „Trombóza“).

Chronická hemolýza

Dlhodobý (chronický) rozpad červených krviniek (hemolýza).

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

Súčasť imunitného systému ľudského tela, ktorá ničí baktérie a iné cudzie bunky. Pri PNH komplement ničí červené krvinky, ktorým chýbajú určité ochranné proteíny.

Gonokoková infekcia

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

Hemoglobín

Hnedočervená látka v červených krvinkách, ktorá umožňuje prenos kyslíka v ľudskom tele. Je príčinou typického tmavého sfarbenia moču pri PNH.

Hemoglobinúria

Hemoglobín v moči. Ide o odborný výraz pre tmavé sfarbenie moču (pripomínajúce kolový nápoj), ktoré sa niekedy vyskytuje pri PNH. Pri rozpade červených krviniek, ku ktorému dochádza pri PNH, sa z červených krviniek uvoľňuje hemoglobín. Ak ho telo všetok nespracuje, odchádza ako odpadová látka do moču, ktorému dáva charakteristickú kolovo hnedú farbu.

Meningokoková infekcia

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

Paroxyzmálna nočná hemoglobinúria (PNH)

Zriedkavé ochorenie krvi, pri ktorom dochádza ku chronickému rozpadu červených krviniek (hemolýze) v dôsledku činnosti komplementového systému. To môže viesť k vážnym problémom vrátane anémie, únavy a trombózy.

Červené krvinky (erytrocyty)

Krvné bunky, ktoré prenášajú kyslík pomocou proteínového komplexu nazývaného hemoglobín. Pri PNH sú červené krvinky neustále napádané a ničené komplementovým systémom, pretože im chýbajú dôležité ochranné proteíny.

Trombóza (trombotické príhody)

Vytvorenie alebo rozvoj krvnej zrazeniny, ktorá často zablokuje prietok krvi v cieve. Pri PNH môžu krvné zrazeniny vznikať na obvyklých miestach, ale môžu sa objavovať aj na neobvyklých miestach, ako napríklad v brušných cievach (pozri „Krvné zrazeniny“).

ÚVOD

Táto príručka je určená pre dospelých a dospelievajúcich pacientov s paroxyzmálnou nočnou hemoglobínúriou (PNH) a pre rodičov detí a adolescentov s PNH. 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 PNH. 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.

PNH je ochorenie, pri ktorom je určitá časť prirodzeného imunitného systému, nazývaná komplementový systém, nadmerne činná, obvykle v dôsledku genetickej poruchy regulácie komplementového systému. Komplementový systém je vždy pripravený zasiahnuť, a keď je príliš aktívny, môže ničiť červené krvinky (hemolýza), čo môže mať za následok nízky počet krviniek, únavu, ťažké zvládanie bežných činností, bolesti, tmavý moč, dýchavičnosť a tvorbu krvných zrazenín.

SOLIRIS® je protilátka, ktorá sa viaže na jednu časť komplementového systému, a tým ju vyraduje z činnosti. Takto SOLIRIS® potláča hemolýzu (rozpad červených krviniek), ktorá je príčinou prejavov a príznakov PNH. Keďže PNH je chronické ochorenie, SOLIRIS® je liek určený na dlhodobé užívanie.

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 stavu ohrožujúceho život pacienta 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 ZAOČKOVAT 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 podávať profylakticky 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 v súlade s národnými predpismi pre očkovanie najmenej 2 týždne pred začatím podávania lieku SOLIRIS® a podľa národných odporúčaní pre očkovanie príslušnej vekovej skupiny.

AKÉ PRÍZNAKY BY MA MALI POČAS 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
- Výrazná bolesť svalov spojená s pocitmi ako pri chrípke
- Svetloplachosť



Ak sa nemôžete spojiť so svojim lekárom, choďte na pohotovosť a ukážte im 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 všimnúť aj iné príznaky ako nečinnosť, podráždenosť, vracanie a nezájum o kŕmenie.

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 špecifické antibiotiká, aby sa znížilo riziko infekcie typom baktérie, ktorá sa volá *Neisseria meningitidis*
- oboznámiť sa s príznakmi infekcie a s postupom v prípade spozorovania týchto príznakov,
- ak ide o liečbu vášho dieťaťa, pochopiť potrebu zaočkovania dieťaťa proti *Haemophilus influenza* a pneumokokovým infekciám v súlade s národnými predpismi pre očkovanie 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 očkovanie proti meningokokovej infekcii absolvovali aspoň 2 týždne pred prvou infúziou. Ak vy alebo vaše dieťa začnete liečbu liekom SOLIRIS[®] menej ako 2 týždne po absolvovaní očkovania proti meningitíde, váš lekár alebo ošetrovateľ musí zabezpečiť, aby ste užívali antibiotiká počas 2 týždňov po očkovaní, aby sa znížilo riziko 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 LIEČBY 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.
- **Príručka s informáciami pre pacientov s PNH a pre rodičov pacientov s PNH.**
- **Rodičia/zákonní zástupcovia malých detí dostanú príručku pre rodičov detí s PNH.**
- Lekár vám/vášmu dieťaťu ponúkne možnosť zaradiť sa do registra **PNH Registry**. Do tohto registra vás/vaše dieťa môže zaradiť iba váš lekár.

AKO SA SOLIRIS® PODÁVA?

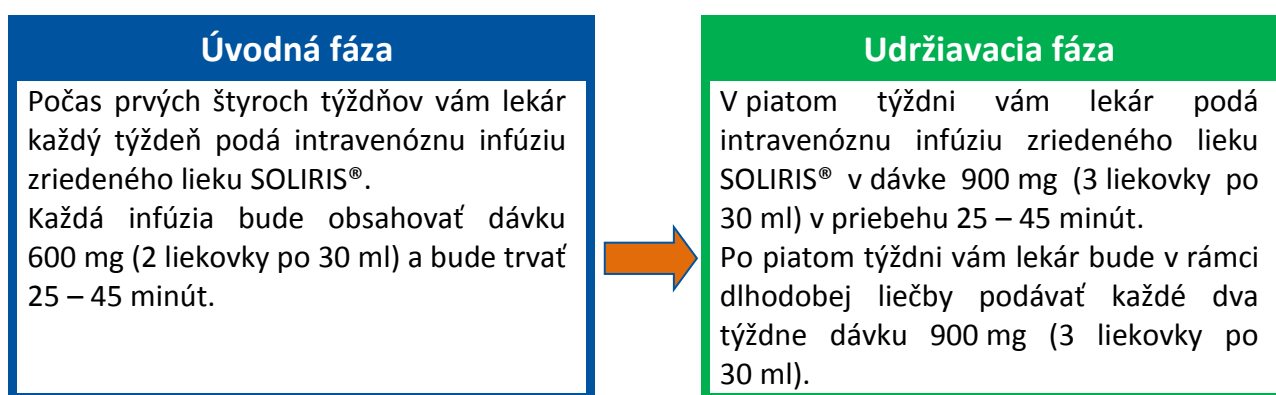
SOLIRIS® sa podáva ako **intravenózna infúzia** (podanie roztoku do žily). Infúzia trvá **25 až 45 minút**. Infúziu musí pripraviť a podať lekár alebo iný zdravotnícky pracovník s vhodnou kvalifikáciou.

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 monitorovaný 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	600 mg týždenne x 4	900 mg v 5. týždni; potom 900 mg 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 PNH s telesnou hmotnosťou 40 kg a viac dostávajú odporúčané dávky ako dospelí.

Deti a adolescenti s PNH 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 hemolýzy, a aby bolo možné naplno využiť prínosy liečby liekom SOLIRIS®.

AKO DLHO BUDEM MUSIEŤ UŽÍVAŤ SOLIRIS®?

Keďže **PNH je chronické ochorenie**, SOLIRIS® sa podáva ako dlhodobá **terapia**.

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 rýchly návrat príznakov ochorenia PNH po skončení užívania lieku SOLIRIS® v ešte vážnejšej podobe.

Liečbu nesmiete ukončiť bez lekárskeho dohľadu

Ak máte v úmysle ukončiť liečbu liekom SOLIRIS®, poraďte sa najprv so svojím lekárom o možných vedľajších účinkoch a rizikách, medzi ktoré patrí aj nárast rozpadu červených krviniek (hemolýza) s týmito možnými následkami:

- významný pokles počtu červených krviniek (anémia),
- zmätenosť alebo zníženie pozornosti,
- bolesť na hrudníku (angina pectoris),
- problémy s obličkami (nárast hladiny kreatinínu v sére),
- tvorba krvných zrazenín (trombóza).

SÚ S UŽÍVANÍM LIEKU SOLIRIS® SPOJENÉ NEJAKÉ ĎALŠIE RIZIKÁ?

Riziko infekcie

Vzhľadom na mechanizmus pôsobenia sa má liek SOLIRIS® podávať opatrne u pacientov s aktívnou systémovou infekciou.

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 vyvolávať alergické reakcie. Ak po podaní lieku SOLIRIS® spozorujete akékoľvek prejavy alebo príznaky alergie, mali by ste sa poradiť s lekárom.

Užívanie iných liekov

Je dôležité vedieť, že niektoré lieky, ktoré užívate, najmä antikoagulanciá (prostriedky na riedenie krvi), ako napríklad aspirín alebo warfarín, 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 antikoncepčné 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, nízky počet bielych krviniek (leukopénia) a ako najvážnejší vedľajší účinok 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.
02. Hillmen P, Young NS, Shubert J, et al. The complement inhibitor eculizumab in paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. *N Engl J Med.* 2006; 355: 1233-1243.
03. Rosse WF, Hillmen P, Schreiber AD. Immune-mediated hemolytic anemia. *Hematology (Am Soc Hematol Educ Program).* January 2004: 48-62.

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.

Ďalšie informácie o ochorení PNH nájdete na www.pnhsource.eu

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.

August 2019