

AKO DLHO BUDEM MUSIEŤ UŽÍVAŤ ULTOMIRIS®?

Kedže **PNH je chronické ochorenie**, ULTOMIRIS® je určený na **dlhodobú liečbu**. Pacienti, ktorí začnú liečbu ULTOMIRISOM®, majú v užívaní ULTOMIRISU® pokračovať, aj keď sa cítia lepšie.

Prerušenie alebo ukončenie liečby ULTOMIRISOM® môže spôsobiť po skončení liečby ULTOMIRISOM® rýchly návrat príznakov PNH v závažnejšej podobe.

LIEČBU NESMIETE UKONČIŤ BEZ LEKÁRSKEHO DOHLADU

Ak máte v úmysle ukončiť liečbu ULTOMIRISOM®, je potrebné sa najprv poradiť so svojím lekárom o možných vedľajších účinkoch a rizikách, medzi ktoré patrí zvýšený rozpad červených krviniek (hemolýza) čo môže spôsobiť:

- významný pokles počtu červených krviniek (anémia)
- môžete byť zmätený alebo mať zníženú pozornosť
- bolesť na hrudi alebo angína pectoris
- problémy s obličkami (vzostup hladiny kreatinínu v sére)
- krvné zrazeniny (trombóza)

▼ Tento liek je predmetom ďalšieho monitorovania. To umožní rýchle získanie nových informácií o bezpečnosti.

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 príručke a písomnej informácii pre používateľa lieku. Vedľajšie účinky môžete hlásiť aj priamo na Štátny ústav pre kontrolu liečiv, Sekcia klinického skúšania liekov a farmakovigilancie, Kvetná ul. 11, SK-825 08 Bratislava 26, Tel: + 421 2 507 01 206, e-mail: neziaduce.ucinky@sukl.sk. Tlačivo hlásenia podozrenia na nežiaduce účinky lieku nájdete na webovej stránke www.sukl.sk v časti Bezpečnosť liekov/Hlásenie o nežiaducich účinkoch/. Formulár na elektronické podávanie hlásení: <https://portal.sukl.sk/eskadra/>. 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.

ĎALŠIE INFORMÁCIE

Viac informácií o PNH nájdete na stránke: <https://alexion.com/>

Ak si želáte ďalšie informácie o ULTOMIRIS®, kontaktujte medicínske oddelenie spoločnosti Swixx Biopharma s. r. o., Bratislava, Slovensko, lokálnemu partnerovi Alexionu.

E-mail: medinfo.slovakia@swixxbiopharma.com.



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

ULTOMIRIS® ▼ (ravulizumab)

Paroxyzmálna nočná hemoglobínúria (PNH)

Príručka pre pacientov



Slovník pojmov

Anémia

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

Antikoagulancia

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

Krvné zrazeniny

Keď sa v krvi spojí dokopy veľa krvných doštičiek, vytvorí krvnú zrazeninu. Tieto zrazeniny môžu, v závislosti od ich veľkosti a miesta výskytu, upchať prietok krvi v žilách alebo tepnách (pozri „Trombóza“).

Chronická hemolýza

Dlhodobý (chronický) rozpad červených krviniek (hemolýza).

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

Časť imunitného systému, ktorá ničí baktérie a iné cudzie bunky. Pri PNH je komplement zodpovedný za ničenie červených krviniek, ktorým chýbajú špecifické ochranné proteíny.

Hemoglobín

Hnedočervené farbivo v červených krvinkách, ktoré umožňuje prenos kyslíka v tele. Je príčinou typického tmavého sfarbenia moču pri PNH.

Hemoglobinúria

Prítomnosť hemoglobínu v moči. Ide o odborný výraz pre tmavé sfarbenie moču vo farbe kolového nápoja, ktoré sa niekedy

vyskytuje pri PNH. Pri rozpade alebo zániku červených krviniek, ku ktorému dochádza pri PNH, sa z červených krviniek uvoľňuje hemoglobín. Ak ho telo všetok nespracuje, odchádza ako odpadová látka do moču a sfarbuje ho charakteristickou hnedou farbou kolového nápoja.

Meningokoková infekcia

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

Sepsa

Prítomnosť baktérií (bakterémia), iných patogénnych mikroorganizmov alebo toxínov vytvorených patogénnymi mikroorganizmami v krvnom obeh, ktoré sa rozšíria do celého tela.

Paroxysmálna nočná hemoglobinúria (PNH)

Zriedkavé ochorenie krvi, pri ktorom dochádza ku chronickému ničeniu alebo rozpadu červených krviniek prostredníctvom komplementového systému. To môže viesť k závažným problémom vrátane anémie, únavy a trombózy.

Červené krvinky

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 sa môžu krvné zrazeniny vyskytovať na obvyklých miestach, ale môžu sa vyskytnúť aj na neobvyklých miestach, ako sú brušné cievy (pozri „Krvné zrazeniny“).

Úvod

Táto príručka je určená pre dospelých pacientov s paroxysmálnou nočnou hemoglobinúriou (PNH). Táto príručka vám poskytne informácie o tom, ako vám podajú ULTOMIRIS®, a o dôležitých informáciách o bezpečnosti, ktorých si musíte byť vedomý.

Čo je ULTOMIRIS®?

ULTOMIRIS® je liek, ktorý sa používa na liečbu dospelých pacientov s PNH. Je to typ humanizovanej monoklonálnej protilátky. Protilátky sú látky, ktoré sa v krvi môžu viazať na špecifické ciele. Humanizovaná opisuje skutočnosť, že ide o protilátku pripravenú tak, aby bola čo najpodobnejšia ľudským protilátkam. Monoklonálna znamená, že celé liečivo pochádza z jednej pôvodnej protilátky, t.j. všetky protilátky sú úplne rovnaké.

PNH je ochorenie, pri ktorom je špecifická 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 nadmerne aktívny, môže zapríčiniť rozpad červených krviniek (hemolýza), čo môže mať za následok nízke počty krviniek (anémia), únavu, ťažké zvládanie bežných činností, bolesť, tmavý moč, dýchavičnosť a tvorbu krvných zrazenín.

ULTOMIRIS® je protilátka, ktorá sa viaže na jednu časť komplementového systému, a tým zabráni jeho činnosti. Preto ULTOMIRIS® zmierňuje hemolýzu (rozpad červených krviniek), ktorá je príčinou prejavov a príznakov PNH. Keďže PNH je chronické ochorenie, ULTOMIRIS® je určený na dlhodobú liečbu.



ROZPAD ČERVENÝCH KRVINIEK



ZDRAVÉ ČERVENÉ KRVINKY

Časté otázky

AKÉ BEZPEČNOSTNÉ RIZIKÁ SA SPÁJAJÚ S ULTOMIRISOM®?

Dôležité informácie o bezpečnosti

Kedže ULTOMIRIS® blokuje časť imunitného systému, jeho užívaním sa zvyšuje riziko závažnej infekcie a sepsy, predovšetkým druhom baktérie nazývanej *Neisseria meningitidis*. Tá môže vyvolať prípady meningitídy, čo je závažná infekcia mozgu alebo závažnú infekciu krvi.

Tieto infekcie si vyžadujú neodkladnú a primeranú liečbu, pretože môžu rýchlo spôsobiť smrť alebo život ohrozujúci stav alebo spôsobiť závažné postihnutia.

Je dôležité, aby ste poznali opatrenia, ktoré máte na zníženie rizika týchto infekcií spraviť, a ako máte postupovať v prípade podozrenia, že máte infekciu (pozri nižšie).

Bezpečnostné opatrenia:

Pred začatím liečby ULTOMIRISOM® VÁS MUSIA ZAOČKOVAŤ proti meningokokovej infekcii. Ak sa začnete liečiť ULTOMIRISOM® v čase kratšom ako 2 týždne po zaočkovaní proti meningokokom, musíte užívať antibiotiká počas 2 týždňov po očkovaní, aby sa znížilo riziko infekcie baktériou *Neisseria meningitidis*.

Vakcinácia znižuje riziko vzniku meningokokovej infekcie, no riziko úplne nevylučuje.

k je u vás vakcína kontraindikovaná, alebo nie je dostupná vo vašej krajine, budete užívať antibiotiká počas celého obdobia liečby.

BEZPEČNOSTNÚ KARTU PACIENTA MUSÍTE NOSIŤ PRI SEBE POČAS CELEJ LIEČBY ULTOMIRISOM® A 8 MESIACOV PO UKONČENÍ UŽÍVANIA a poskytnúť ju každému zdravotníckemu pracovníkovi, ktorého navštívite.

AKÉ PRÍZNAKY MA MAJÚ POČAS LIEČBY VAROVAŤ?

BUDETE SI MUSIEŤ VŠÍMAŤ PREJAVY A PRÍZNAKY MENINGOKOKOVEJ INFEKČIE A OKAMŽITE KONTAKTOVAŤ LEKÁRA, AK SA OBJAVIA NASLEDOVNÉ PRÍZNAKY:

- Bolesť hlavy s nevoľnosťou alebo vracaním
- Bolesť hlavy a horúčka
- Bolesť hlavy so stuhnutou šíjou alebo stuhnutým chrbtom
- Horúčka
- Horúčka a vyrážka
- Zmätenosť
- Bolesť svalov s príznakmi podobnými chrípke
- Oči citlivé na svetlo



AK SA NEMÔŽETE SPOJIŤ SO SVOJÍM LEKRÁOM, CHOĎTE NA POHOTOVOŠŤ. UKÁŽTE IM SVOJU BEZPEČNOSTNÚ KARTU PACIENTA.

MUSÍM PRED ZAČATÍM LIEČBY VYKONAŤ NEJAKÉ OPATRENIA?

Pred začatím liečby s vami lekár prediskutuje prečo je dôležité:

- absolvovať očkovanie proti meningitíde, a v niektorých prípadoch užívať špecifické antibiotiká na zníženie rizika infekcie druhom baktérie nazývanej *Neisseria meningitidis*,
- pochopiť príznaky súvisiace s infekciou uvedené vo vašej bezpečnostnej karte pacienta a ako postupovať, ak tieto príznaky spozorujete,
- po ukončení liečby ULTOMIRISOM® byť pod dôkladným pozorovaním lekára,

Váš lekár alebo zdravotná sestra musí zabezpečiť, aby ste absolvovali očkovanie proti meningokokovej infekcii minimálne 2 týždne pred prvou infúziou. Ak začnete liečbu ULTOMIRISOM® v čase kratšom ako 2 týždne po absolvovaní očkovania proti meningitíde, lekár alebo zdravotná sestra musí zabezpečiť, aby ste užívali antibiotiká počas 2 týždňov po očkovaní, aby sa znížilo riziko infekcie vyvolanej baktériou *Neisseria meningitidis*.

Okrem toho, budete počas celého obdobia liečby dôkladne pozorovaný lekárom, či sa u vás nerozvíja meningokoková infekcia a iné infekcie.

SÚ PRI UŽÍVANÍ ULTOMIRISU® NEJAKÉ INÉ RIZIKÁ?

Riziko infekcie: Vzhľadom na mechanizmus účinku sa má ULTOMIRIS® podávať s opatrnosťou u pacientov s aktívnymi systémovými infekciami. Musíte sledovať vaše príznaky a akékoľvek zmeny povedať svojmu lekárovi.

Alergické reakcie: ULTOMIRIS® obsahuje bielkovinu a bielkoviny môžu u niektorých ľudí vyvolať alergické reakcie. Ak po podaní ULTOMIRISU® spozorujete akékoľvek prejavy alebo príznaky alergie, máte sa poradiť so svojím lekárom.

Tehotenstvo: ULTOMIRIS® sa neodporúča užívať počas tehotenstva. Ak ste tehotná alebo plánujete otehotnieť, povedzte o tom svojmu lekárovi ešte pred začatím liečby ULTOMIRISOM®. Ženy v plodnom veku majú počas liečby a až do 8 mesiacov po ukončení liečby používať primerané antikoncepcné metódy.

Mužskí pacienti liečení ULTOMIRISOM® nemajú splodiť dieťa ani darovať spermu až do 8 mesiacov po ukončení liečby.

Dojčenie: ULTOMIRIS® môže prestupovať materským mliekom do tela vášho dieťaťa. Preto počas liečby ULTOMIRISOM® a až do 8 mesiacov po ukončení liečby nemáte dojčiť.

Starší ľudia: Pri liečbe pacientov vo veku nad 65 rokov a starších nie sú žiadne špeciálne opatrenia.

Vedľajšie účinky: ULTOMIRIS® sa celkovo dobre znáša. Najčastejšie hláseným vedľajším účinkom bola infekcia horných dýchacích ciest, prechladnutie a bolesť hlavy a najvážnejší vedľajší účinok bola meningokoková infekcia (t.j., infekcia vyvolaná baktériou Neisseria meningitidis). Bolesť hlavy boli mierne a po úvodnej fáze podávania ULTOMIRISU® odzneli.

AKO PREBIEHA ZAČIATOK LIEČBY ULTOMIRISOM®

ULTOMIRIS® musí predpísať lekár. Dostanete aj štartovací balíček s týmto obsahom:

- **Bezpečnostná karta pacienta:** u pacientov, ktorí užívajú ULTOMIRIS® je veľmi dôležité rýchlo rozpoznať a liečiť určité typy infekcií; preto dostanete Bezpečnostnú kartu pacienta, na ktorej sú uvedené špecifické príznaky, ktoré si máte vždy všímať. Túto kartu máte mať počas liečby ULTOMIRISOM® a až do 8 mesiacov po poslednej dávke vždy pri sebe a ukázať ju každému lekárovi alebo zdravotníckemu pracovníkovi, ktorého navštívite.

- **Príručka s informáciami pre pacienta**

AKO SA ULTOMIRIS® PODÁVA?

ULTOMIRIS® sa podáva vo forme intravenózneho infúzie (podanie roztoku do žily). Čas podávania infúzie sa líši v závislosti od dávkovania. Infúziu musí pripraviť a podať lekár alebo iný zdravotnícky pracovník s primeranou kvalifikáciou.

Tak ako všetky lieky podávané vo forme intravenózneho infúzie, aj ULTOMIRIS® môže vyvolať okamžitú alebo oneskorenú reakciu. V takom prípade sa obráťte na svojho lekára.

Vzhľadom na riziko reakcie na infúziu (vrátane alergickej reakcie) budete po každej infúzii sledovaný približne jednu hodinu. Musíte dôsledne dodržiavať pokyny lekára.



AKÁ DÁVKA ULTOMIRISU® SA PODÁVA?

Dospelí:

Odporúčaná schéma dávkovania pre dospelých pacientov pri PNH pozostáva zo začiatkovej dávky, po ktorej nasledujú udržiavacie dávky, podávajú sa vo forme intravenózneho infúzie. Dávky sa musia podávať v závislosti od telesnej hmotnosti pacienta, ako je uvedené v **Tabulke 1**, a s minimálnym časom podávania infúzie, ako je uvedené v **Tabulke 2**.

Udržiavacie dávky sa podávajú jedenkrát každých 8 týždňov, začína sa 2 týždne po podaní začiatkovej dávky.

Tabuľka 1: Dávkovanie v závislosti od telesnej hmotnosti

Rozmedzie telesnej hmotnosti (kg)	Začiatková dávka (mg)	Udržiavacia dávka (mg)
≥ 40 až < 60	2400	3000
≥ 60 až < 100	2700	3300
≥ 100	3000	3600

Tabuľka 2: Tabuľka vyjadrujúca podávanú dávku

	Rozmedzie telesnej hmotnosti (kg)	Dávka ULTOMIRISU® (mg)	Celkový objem (ml)	Minimálna dĺžka trvania infúzie (minúty (hodiny))
Začiatková dávka	≥ 40 až < 60	2400	480	114 (1,9)
	≥ 60 až < 100	2700	540	102 (1,7)
	≥ 100	3000	600	108 (1,8)
Udržiavacia dávka	≥ 40 až < 60	3000	600	140 (2,4)
	≥ 60 až < 100	3300	660	120 (2,0)
	≥ 100	3600	720	132 (2,2)

Je veľmi dôležité zabezpečiť, aby ste **nevynechali**, ani sa **neoneskorili na žiadnu naplánovanú objednanú liečbu** z dôvodu pokračovania v kontrole rozpadu červených krviniek a úplného využitia prínosov liečby ULTOMIRISOM®.