

Brožura s informacemi pro pacienta a rodiče pacienta s aHUS

Atypický hemolyticko-uremický syndrom (aHUS)

Vzácná porucha způsobená chronickou a nadměrnou aktivací komplementového systému, části normálního imunitního systému. Nadměrně aktivní komplementový systém poškozuje malé krevní cévy a způsobuje v celém těle tvorbu krevních sraženin. Tento proces se nazývá trombotická mikroangiopatie (TMA). TMA může poškodit mnoho orgánů včetně mozku, ledvin a srdce.

Krevní sraženiny

Krev se sráží, aby se zabránilo krvácení, ale v případě aHUS se krevní sraženiny vytváří velmi snadno a tak ucpávají krevních cévy, čímž způsobují poškození orgánů.

Hemolýza

Abnormální rozpad červených krvinek, která může způsobit různé projevy a příznaky aHUS.

Chronická hemolýza

Dlouhodobý (chronický) rozpad červených krvinek (hemolýza).

Komplementový systém (nazývaný také komplementová kaskáda nebo komplement)

Část imunitního systému, která za běžných okolností likviduje bakterie a cizorodé buňky. V případě aHUS je chronicky a nadměrně aktivní a způsobuje poškození vlastních tkání, protože ničí malé krevní cévy a vytváří krevní sraženiny, které poškozují orgány jako je mozek, ledviny, srdce a jiné.

Porucha funkce nebo selhání ledvin

Stav, ve kterém ledviny přestanou pracovat a nejsou schopné odstraňovat odpadní produkty nebo regulovat množství vody a základních látek v těle.

Meningokoková infekce

Infekce způsobená bakterií *Neisseria meningitidis* (nazývaná též meningokok).

Může způsobit zánět mozkových blan nebo rozsáhlou celotělovou infekci (sepsi).

Krevní destičky

Krevní destičky jsou krevní buňky, které se mohou shlukovat a vytvářet krevní sraženiny. V případě aHUS vytvářejí krevní destičky sraženinu velmi snadno a tím, že je jich na vytvoření sraženiny potřeba hodně, může se v krevním rozboru projevit nedostatek krevních destiček v krvi.

Červené krvinky (RBC)

Červené krvinky přenášejí kyslík pomocí proteinového komplexu nazývaného hemoglobin. V případě aHUS jsou červené krvinky zničeny během průchodu zablokovanými a poškozenými malými krevními cévami.

Trombóza (trombotické příhody)

Tvorba krevní sraženiny, která může zablokovat proudění krve cévou. V případě aHUS vznikají krevní sraženiny v malých cévách, zejména v mozku, ledvinách, srdci a dalších orgánech.

Trombotická mikroangiopatie (TMA)

Popis procesu destrukce malých krevních cév při aHUS a tvorby krevních sraženin v těchto poškozených cévách. TMA je způsobena chronickou a nadměrnou aktivací komplementového systému a je hlavní příčinou způsobující poškození a onemocnění pacientů s aHUS.

ÚVOD

Tato příručka je určena pro dospělé a dospívající pacienty, kteří trpí atypickým hemolyticko-uremickým syndromem (aHUS) a pro rodiče dětí a dospívajících pacientů s aHUS. Příručka poskytuje informace o přípravku SOLIRIS®, jak vám bude podáván, a důležité bezpečnostní informace, se kterými se musíte seznámit. Existuje také další příručka určená zejména pro rodiče malých dětí, kterou vám může předat lékař.

CO JE SOLIRIS®?

SOLIRIS® je léčivo určené k léčbě pacientů se syndromem aHUS. Jedná se o humanizovanou monoklonální protilátku. Protilátky jsou bílkoviny, které se mohou v krvi vázat na určité cílové molekuly. Pojem humanizovaná označuje, že je protilátka upravena, aby byla co nejvíce podobná lidským protilátkám. Monoklonální znamená, že veškeré léčivo pochází z jedné původní protilátky, tj. jsou všechny přesně stejné.

aHUS je onemocnění, při kterém je specifická část přirozeného imunitního systému, zvaná komplementový systém, nadměrně aktivní, obvykle v důsledku genetické poruchy jeho normální regulace. Komplementový systém je stále aktivní a je-li aktivován nadměrně, může poškozovat vlastní tkáň a orgány těla. Děje se tak z prostřednictvím destrukce malých krevních cév a tvorby krevních sraženin, které blokují průtok krve do tkání a orgánů. Tento proces se odborně nazývá trombotická mikroangiopatie (TMA). TMA při aHUS může poškozovat mnoho orgánů, včetně ledvin, mozku a srdce.

SOLIRIS® je protilátka, která váže jednu z částí komplementového systému a inaktivuje ji. Proto SOLIRIS® zabraňuje/snižuje poškození malých krevních cév a brání tvorbě krevních sraženin a zmírňuje tak projevy a orgánová poškození při aHUS. Syndrom aHUS je chronické onemocnění, proto je přípravek SOLIRIS® určen k dlouhodobé léčbě.

Časté dotazy

JAKÁ BEZPEČNOSTNÍ OPATŘENÍ SE VZTAHUJÍ K PŘÍPRAVKU SOLIRIS®?

DŮLEŽITÉ BEZPEČNOSTNÍ INFORMACE

Přípravek SOLIRIS® blokuje část imunitního systému a proto zvyšuje riziko závažné infekce a sepse, způsobené zejména bakterií *Neisseria meningitidis*. Proto může dojít k případům meningitidy (zánětu mozkových blan),; a také k závažným celotělovým infekcím včetně krve.

Tyto infekce vyžadují naléhavou a náležitou léčbu, neboť se mohou rychle stát smrtelnými či život ohrožujícími a vedou k závažným následkům.

Aby se snížilo riziko infekce, je důležité porozumět bezpečnostním opatřením a vědět, jak se při podezření na infekci zachovat (viz níže).

Bezpečnostní opatření:

Před zahájením léčby přípravkem SOLIRIS® **MUSÍTE BÝT OČKOVÁNÍ** proti meningokokové infekci a v některých případech vám musí být preventivně podávána antibiotika, aby se snížilo riziko vzniku infekce vyvolané *Neisseria meningitidis*, dokud nezačne být očkování účinné.

Děti, pro které není vakcína k dispozici, nebo se očkování nesmí provést, budou užívat antibiotika za účelem snížení rizika infekce po celou dobu léčby.

U dětí a dospívajících mladších 18 let bude provedeno očkování proti infekci *Haemophilus influenza* a pneumokokovým infekcím v souladu s národními předpisy pro vakcinaci, a to alespoň 2 týdny před zahájením léčby.

Očkování snižuje riziko rozvoje infekce, ale zcela jej nevylučuje.

Příznaky infekce

Je nutné okamžitě informovat lékaře, jestliže se objeví **KTERÝKOLIV** z následujících příznaků:

- bolest hlavy s pocitem na zvracení nebo zvracením,
- bolest hlavy se ztuhnutím šíje nebo zad,
- horečka,
- vyrážka,
- zmatenost,
- silná bolest svalů v kombinaci s příznaky chřipkového onemocnění,
- citlivost na světlo.



Nemůžete-li zastihnout svého lékaře, jděte na pohotovostní oddělení a prokažte se svou bezpečnostní kartou pacienta.



Rodiče/zákonní zástupci novorozenců a kojenců, **buďte si vědomi, že typické příznaky – bolesti hlavy, horečka a ztuhlost šíje – mohou být hůře zjistitelné**, proto si u dětí všímejte i jiných příznaků, jako je netečnost, podrážděnost, zvracení a snížení příjmu potravy.

JE TŘEBA PROVÉST NĚKTERÁ OPATŘENÍ PŘED ZAHÁJENÍM LÉČBY?

Před zahájením léčby s vámi lékař probere:

- očkování proti meningitidě a v některých případech nasazení specifických antibiotik, aby se snížilo riziko infekce bakterií *Neisseria meningitidis*,
- projevy infekce a způsob, jakým se zachovat v případě, že tyto příznaky máte,
- léčí-li se vaše dítě –nutnosti očkování proti *Haemophilus influenza* a pneumokokovým infekcím v souladu s národními vakcinačními předpisy alespoň 2 týdny před zahájením léčby přípravkem SOLIRIS® ,
- nutnost pečlivého sledování lékařem po jakémkoliv přerušení léčby přípravkem SOLIRIS® .

Lékař či zdravotní sestra se musí ujistit, že bylo očkování proti meningokokové infekci provedeno alespoň 2 týdny před první infúzí a/nebo v některých případech dostanete specifická antibiotika, aby se snížilo riziko infekce vyvolané *Neisseria meningitidis*.

Obdržíte rovněž startovací sadu, která obsahuje:

- **Bezpečnostní kartu Pacienta** se seznamem specifických příznaků, na které se vždy musí dávat pozor. Tuto kartu noste stále u sebe a prokazujte se jí při jakékoli návštěvě zdravotnického zařízení, včetně například zubní ordinace.
- **Brožuru s informacemi pro pacienta a rodiče pacienta s aHUS**
- **Rodiče/zákonní zástupci malých dětí obdrží příručku pro rodiče pacientů s aHUS.**
- Lékař Vám může nabídnout zařazení vašeho dítěte do mezinárodního **registru aHUS**. Lékař vás/vaše dítě může do registru zařadit. Registr slouží k průběžnému získávání informací o samotném onemocnění a pomáhá lékařům na celém světě lépe porozumět diagnostice a léčbě tohoto ultra vzácného onemocnění. Sběr informací umožňuje vyhodnotit výsledky léčby, její účinnosti a bezpečnosti a pomáhá zlepšit péči o pacienty s onemocněním aHUS.

JAK SE PŘÍPRAVEK SOLIRIS® PODÁVÁ?

SOLIRIS® se podává ve formě **intravenózní infúze** (zavedení roztoku do žíly). Infúze trvá **25 až 45 minut**. Infúzi musí připravovat a podávat lékař nebo jiný příslušně kvalifikovaný zdravotník.

Jako všechna léčiva podávaná ve formě intravenózní infúze, může přípravek SOLIRIS® způsobit okamžitou nebo opožděnou reakci. Dojde-li k tomu, okamžitě informujte svého lékaře nebo ošetřující personál. V klinických studiích nebyla u žádného pacienta s PNH nebo aHUS zaznamenána reakce na infuzi, která by vyžadovala přerušení léčby přípravkem Soliris. U všech pacientů se závažnou reakcí na infuzi je třeba podávání přípravku Soliris přerušit a zahájit odpovídající léčbu.

Vzhledem k riziku infuzní reakce (včetně alergické reakce) budete po každé infúzi přibližně hodinu sledováni. Pozorně dodržujte pokyny lékaře.

Podání přípravku Soliris může způsobit alergickou reakci (včetně závažné anafylaktické reakce, což je vážná alergická reakce, která způsobuje ztížené dýchání nebo závrať), nebo bolest v místě podání infúze. Pokud v průběhu infuze, nebo po infuzi pozorujete příznaky ztíženého dýchání, závrať nebo pocit na omdlení, okamžitě informujte ošetřující personál. V klinických studiích u

pacientů s aHUS a PNH, nebyla zaznamenána reakce na podání infúze, která by vyžadovala přerušení léčby přípravkem Soliris.

Je velmi důležité **nepromeškat nebo neodložit žádnou naplánovanou léčebnou návštěvu**, aby byla zajištěna setrvalá kontrola trombotické mikroangiopatie a aby byly maximálně využity výhody léčby přípravkem SOLIRIS®.

JAK DLOUHO BUDU MUSET UŽÍVAT SOLIRIS®?

Vzhledem k tomu, že **aHUS je chronické onemocnění**, je přípravek SOLIRIS® určen k **dlouhodobé léčbě**.

Pacienti, kteří zahájili léčbu přípravkem SOLIRIS®, by jej měli nadále dostávat i v případech, že se cítí lépe.

Přerušeni nebo ukončení léčby přípravkem SOLIRIS® může způsobit návrat symptomů aHUS po ukončení léčby

U některých pacientů, kteří léčbu přerušili, došlo k opětovnému výskytu projevů a příznaků aHUS. Bez konzultace se zdravotníkem a lékařského dohledu byste neměli léčbu přípravkem SOLIRIS® ukončovat.

Plánujete-li léčbu přípravkem SOLIRIS® ukončit, je třeba s lékařem předem prodiskutovat vedlejší účinky a rizika, která zahrnují opakovaná poškození malých krevních cév a vznik krevních sraženin. To může způsobit:

- Symptomy, které se mohou objevit: Snížení objemu moči (ledvinové potíže), zmatenost nebo změna pozornosti.
- Následující výsledky krevních testů: Významný pokles počtu krevních destiček, neboť jsou využity při tvorbě krevních sraženin, závažné zvýšení rozpadu červených krvinek, zvýšení hladiny sérového kreatininu (ledvinové potíže).
- Bolesti na hrudi nebo angina pectoris (palčivá bolest za hrudní kostí), dušnost.

Ostatní užívané léky

Je důležité porozumět, že některé léky, které užíváte, nelze měnit bez konzultace s lékařem. Ujistěte se, že lékař ví o všech lécích, které užíváte.

Těhotenství a kojení

Přípravek SOLIRIS® se nedoporučuje užívat během těhotenství, protože není možné vyloučit, že Soliris může způsobovat vrozené vývojové vady u dětí. Před zahájením léčby přípravkem SOLIRIS® sdělte lékaři, zda jste těhotná nebo že otěhotnění plánujete. Stejně tak je třeba informovat lékaře, pokud byste otěhotněla, nebo plánovala těhotenství kdykoli později v průběhu léčby. Klinické údaje o podávání přípravku Soliris během těhotenství nejsou k dispozici.

Nebyly provedeny reprodukční studie na zvířatech s podáváním ekulizumabu a přípravek Soliris by měl být podáván těhotným ženám pouze tehdy, je-li to jednoznačně nutné.

Ženy, které mohou otěhotnět, mají během léčby a ještě 5 měsíců po jejím ukončení užívat účinnou antikoncepci.

Není známo, zda se ekulizumab vylučuje do lidského mateřského mléka. Jelikož mnoho léčivých přípravků a imunoglobulinů je vylučováno do mateřského mléka a jelikož existuje možnost vzniku závažných nežádoucích reakcí u kojenců, kojení má být během léčby a dále až 5 měsíců po ukončení léčby přerušeno.

Dodáváno společností Alexion Europe jako edukační pomůcka pro pacienty.

Pokud se u Vás vyskytne kterýkoli z nežádoucích účinků, sdělte to svému lékaři nebo lékárníkovi. Stejně postupujte i v případě jakýchkoli nežádoucích účinků, které nejsou uvedeny v příbalové informaci. Nežádoucí účinky můžete hlásit také přímo prostřednictvím národního systému hlášení nežádoucích účinků.

Podrobnosti o hlášení najdete na: <http://www.olecich.cz/hlaseni-pro-sukl/nahlasit-nezadouci-ucinek>

Je třeba doplnit i přesný obchodní název a číslo šarže. Nahlášením nežádoucích účinků můžete přispět k získání více informací o bezpečnosti tohoto přípravku.

Adresa pro zaslání je Státní ústav pro kontrolu léčiv, oddělení farmakovigilance, Šrobárova 48, Praha 10, 100 41, [email: farmakovigilance@sukl.cz](mailto:farmakovigilance@sukl.cz).

V případě pochybností ohledně bezpečnosti volejte na číslo:

+420 735 176 743

[email: Pharmacovigilance.CEE@alexion.com](mailto:Pharmacovigilance.CEE@alexion.com)