

Brožura s informacemi pro pacienta a rodiče pacienta s PNH

SLOVNÍK POJMŮ

Anémie

Stav, kdy tělo nemá dostatek červených krvinek; může vést k únavě a jiným symptomům.

Antikoagulancia

Někdy se nazývají „ředidla krve“; antikoagulancia jsou léky, které snižují schopnost srážení krve a pomáhají bránit tvorbě krevních sraženin.

Krevní sraženiny

Slepí-li se mnoho krevních destiček v krvi k sobě, vytvoří se krevní sraženina. Tyto sraženiny mohou blokovat průtok krve žilami a artériemi, v závislosti na jejich velikosti a místě výskytu (viz „Trombóza“).

Chronická hemolýza

Dlouhodobý (chronický) rozpad červených krvinek (hemolýza).

Komplementový systém (nazývaný také komplementová kaskáda nebo jen komplement)

Část imunitního systému, která likviduje bakterie a jiné cizorodé buňky. U PNH je komplement zodpovědný za rozpad červených krvinek, které mají nedostatek specifického ochranného proteinu.

Hemoglobin

Látka hnědo-červené barvy obsažená v červených krvinkách, která přenáší kyslík do celého těla. Je zodpovědný za charakteristicky tmavou moč při PNH.

Hemoglobiurie

Hemoglobin v moči. Odborným termínem se tmavé moči, která se u PNH někdy vyskytuje, říká moč „barvy coca-coly“. Po rozložení nebo rozpadu červených krvinek, které se vyskytují u PNH, dochází k uvolnění hemoglobinu z červených krvinek. Když nedojde k plnému zpracování tělními systémy, je vylučován jako odpad a obarvuje moč charakteristicky coca-colově hnědou barvou.

Meningokoková infekce

Infekce způsobená bakterií *Neisseria meningitidis* (nazývaná též meningokok). Může způsobit zánět mozkových blan nebo rozsáhlou celotělovou infekci (sepsi).

Paroxysmální noční hemoglobinurie (Paroxysmal Nocturnal Haemoglobinuria) – PNH

Vzácná krevní porucha, při které dochází k chronickému ničení neboli hemolýze červených krvinek komplementovým systémem. Tento proces může vést k závažným potížím, jako je anémie, únava a trombóza.

Červené krvinky

Červené krvinky přenášejí kyslík pomocí proteinového komplexu nazývaného hemoglobin. Červené krvinky jsou u PNH soustavně napadány a ničeny komplementovým systémem, protože nemají důležité ochranné proteiny.

Trombóza (trombotické příhody)

Tvorba nebo rozvoj krevní sraženiny, který často zablokuje proudění krve v cévách. U PNH se krevní sraženiny vyskytují na běžných místech, ale mohou se objevit i na místech neobvyklých, jako například v cévách břicha (viz Krevní sraženiny).

ÚVOD

Tato příručka je určena pro dospělé a dospívající pacienty, kteří trpí paroxysmální noční hemoglobinurií (PNH) a pro rodiče dětí a dospívajících pacientů s PNH. 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 s PNH. 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 jediné původní protilátky, tj. jsou všechny přesně stejné.

PNH 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 jeho aktivita nadměrná, může ničit červené krvinky (hemolýza). To může vést ke snížení množství krevních buněk, únavě, výkonnostním obtížím, bolesti, tmavé moči, dechové nedostatečnosti a vzniku krevních sraženin.

SOLIRIS[®] je protilátka, která váže jednu z částí komplementového systému a inaktivuje ji. Tímto způsobem SOLIRIS[®] zmírňuje hemolýzu (rozpad červených krvinek), která je příčinou projevů a příznaků PNH. PNH 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 OČKOVÁNI proti meningokokové infekci a v některých případech Vám musí být preventivně podávána antibiotika za účelem snížení rizika infekce *Neisseria meningitidis* do té doby, než začne vakcína účinkovat.

V případě, že není k dispozici vakcína pro malé děti, nebo se u Vás očkování nesmí provést, budou Vám/ Vašemu dítěti předepsána antibiotika na celé období léčby nebo po dobu 2 týdnů po provedené vakcinaci.

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

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 ošetřujícího lékaře, jděte na pohotovostní oddělení a prokažte se 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 všimněte 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 specifické antibiotické léčby za účelem snížení rizika infekce bakterií zvanou *Neisseria meningitidis*,
- projevy infekce a způsob, jakým se zachovat v případě, že tyto příznaky máte,
- léčí-li se Vaše dítě –nutnosti očkování proti bakterii *Haemophilus influenzae* 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 byla podána antibiotická léčba za účelem snížení rizika infekce *Neisseria meningitidis*.

Obdržíte rovněž startovací sadu, která obsahuje:

- **Bezpečnostní kartu pacienta:** která obsahuje seznam specifických symptomů, na které se vždy musí dávat pozor. A také jméno a kontakt na Vašeho ošetřujícího lékaře. Tuto kartu je nezbytné nosit neustále u sebe a prokazovat se jí před všemi zdravotníky při jakékoli návštěvě zdravotnického zařízení, včetně například zubní ordinace.
- **Brožuru s informacemi pro pacienta**
- **Rodiče/zákonní zástupci malých dětí obdrží brožuru s informacemi pro rodiče pacientů s PNH.**
- Existuje celosvětový registr pacientů s PNH. V České republice nejsou dostupná žádná aktivní centra pro zařazení pacienta. Informace o celosvětovém registru lze nalézt na www.pnhregistry.com.

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 hodinu sledováni. Pozorně dodržujte pokyny lékaře.

Podání přípravku Soliris může způsobit alergickou reakci nebo reakci z přecitlivělosti včetně anafylaktické reakce což je vážná alergická reakce která způsobuje ztížené dýchání nebo závrať. Může se objevit bolest v místě podání infuze. 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 přerušování léčby přípravkem Soliris.

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

JAK DLOUHO BUDU MUSET UŽÍVAT SOLIRIS®?

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

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

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

Léčbu nesmíte přerušit bez lékařského dohledu.

Plánujete-li léčbu přípravkem SOLIRIS® ukončit, je třeba s lékařem předem prodiskutovat možné nežádoucí účinky a rizika, která zahrnují zvýšený rozpad červených krvinek (hemolýzu), což může způsobit:

- významný pokles množství červených krvinek (anémii),
- může se projevit zmatenost a snížená pozornost,
- bolest na hrudi, angina pectoris (palčivá bolest za hrudní kostí)
- ledvinové potíže (vzestup hladiny sérového kreatininu),
- krevní sraženiny (trombóza).

Ostatní užívané léky

Užíváte-li další léky, zejména antikoagulační (léky na ředění krve) např. Aspirin nebo Warfarin), upozorněte na to svého lékaře a bez porady s ním svoji léčbu neměňte. 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. Přípravek Soliris se může prostřednictvím mateřského mléka dostat do těla vašeho dítěte.

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 zasílání 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