

**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.

Gonokoková infekce

Infekce pohlavně přenosná a způsobená bakterií *Neisseria Gonorrhoeae* (také nazývaná kapavka). Může se šířit a způsobit rozsáhlou infekci krve (sepsi).

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 léčivý přípravek určen 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 meningokové infekce (závažná infekce mozkových blan nebo infekce krve) a jiným infekcím způsobenými bakteriemi *Neisseria* včetně diseminované gonorey (celotělově rozšířené kapavky).

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 Vy nebo Vaše dítě nejméně 2 týdny předem. Pokud Vy nebo Vaše dítě začnete užívat lék SOLIRIS® méně než 2 týdny po očkování proti meningitidě, budete muset užívat antibiotika po dobu 2 týdnů po očkování, aby se snížilo riziko infekce bakterií *Neisseria meningitidis*.

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®.

JAKÝCH PŘÍZNAKŮ BY JSE SE MĚLI BĚHEM LÉČBY VYVAROVAT?

Očkování snižuje riziko rozvoje infekce, ale zcela jej nevylučuje.

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 jste Vy nebo Vaše dítě byli očkovaní proti meningokokové infekci provedeno alespoň 2 týdny před první infúzí. Pokud Vy nebo Vaše dítě začnete užívat lék SOLIRIS® méně než 2 týdny po očkovaní proti meningitidě, budete muset užívat antibiotika po dobu 2 týdnů po očkovaní, aby se snížilo riziko infekce bakterií *Neisseria meningitidis*.

Navíc budete během celé léčby pozorně sledováni, zda se u Vás neprojevuje meningoková nebo jiná infekce.

JAK PROBÍHÁ ZAČÁTEK LÉČBY LÉKEM SOLIRIS®?

SOLIRIS® Vám musí předepsat lékař.

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.**

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.

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

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).

JSOU S UŽÍVÁNÍM LÉKU SOLIRIS® SPOJENÁ DALŠÍ RIZIKA?

Riziko infekce

Vzhledem k mechanismu účinku přípravku SOLIRIS® je zapotřebí zvláštní opatrnosti při jeho použití v případech léčby pacientů s aktivními systémovými infekcemi.

Můžete být vystaveni riziku jiné infekce, především bakteriemi rodu *Neisseria*, včetně celotělově rozšířené gonokokové infekce. Pokud máte riziko kapavky, před použitím tohoto léku se poradte se svým lékařem nebo lékárníkem.

Alergická reakce

SOLIRIS® obsahuje bílkoviny a bílkoviny mohou u některých osob způsobovat alergické reakce. Pokud po podání přípravku SOLIRIS® zpozorujete jakékoli příznaky alergie, kontaktujte svého lékaře.

Ostatní užívané léky

Užíváte-li další léky, zejména antikoagulantia (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.

Starší osoby

Neexistují žádná zvláštní opatření nezbytná při léčbě pacientů ve věku nad 65 let.

Nežádoucí účinky

SOLIRIS® je obecně dobře snášen. Mezi nejčastěji hlášené nežádoucí účinky patří bolesti hlavy, nízký počet bílých krvinek (leukopenie) a jako nejzávažnější vedlejší účinek meningokoková infekce. Bolesti hlavy byly většinou jen mírné a po úvodní fázi podávání léku SOLIRIS® odezněly.

Tento přehled nežádoucích účinků není úplný a je třeba se seznámit i s možnými dalšími nežádoucími účinky, jejichž výčet naleznete v Příbalové Informaci pro pacienta. Příbalová informace pro pacienta (PIL) je distribuována v každém balení léčivého přípravku a lze jí také vyhledat na <http://www.olecich.cz> po zadání názvu léčivého přípravku pod zkratkou PIL.

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.

Tato informace může být také hlášena společnosti Swixx Biopharma s.r.o., Praha, Česká republika, lokálnímu partnerovi Alexionu na číslo: +420 242 434 222 nebo email: medinfo.czech@swixxbiopharma.com