

עלון לצרכן לפי תקנות הרוקחים (תכשירים) התשמ"ו – 1986

התרופה משווקת על פי מרשם רופא בלבד

אלוודיס

1.33×10^{13} וקטור גנומי/מ"ל

תמיסה לעירווי

הרכב:

כל בקבוקון מכיל:

דלאנדיסטרוג'ן מוקספארבווק (delandistrogene moxeparvovec)

1.33×10^{13} וקטור גנומי/מ"ל

לחומרים בלתי פעילים ראה סעיף 6 "מידע נוסף".

קרא בעיון את העלון עד סופו בטרם תשתמש בתרופה. עלון זה מכיל מידע תמציתי על התרופה. אם יש לך שאלות נוספות, פנה אל הרופא או אל הרוקח. שמור את העלון. ייתכן שתצטרך לקרוא אותו שוב.

תרופה זו נרשמה לטיפול במחלתך. אל תעביר אותה לאחרים. היא עלולה להזיק להם אפילו אם נראה לך כי מצבם הרפואי דומה.

בנוסף לעלון, לתכשיר אלוודיס קיים כרטיס למטופל ומדריך למטפל. מסמכים אלו מכילים מידע בטיחותי חשוב שעליך לדעת לפני התחלת הטיפול ובמהלך הטיפול באלוודיס ולפעול על פיהם. יש לעיין במסמכים אלו ובעלון לצרכן בטרם תחילת השימוש בתכשיר. יש לשמור את המסמכים לעיון נוסף בעת הצורך.

1) למה מיועדת התרופה?

אלוודיס מיועדת לטיפול בילדים בגילאים 4 עד 5 שנים שיכולים ללכת (אמבולטוריים) עם ניוון שרירים על שם דושן (DMD) עם מוטציה ודאית בגן DMD.

קבוצה תרפויטית: טיפול גנטי.

אלוודיס היא תרפיה גנית אשר מכילה את החומר הפעיל דלאנדיסטרוג'ן מוקספארבווק. אלוודיס מחדירה לתוך הגוף גן שמכיל את המידע הנדרש לשרירים לייצר חלבון מיקרו-דיסטרופין של אלוודיס.

ילדך ייבדק על ידי הרופא המטפל לפני תחילת הטיפול באלוודיס על מנת לוודא כי מחלתו מתאימה לטיפול באלוודיס, ראה סעיף 2.

כיצד אלוודיס פועלת:

DMD נגרמת על ידי שינוי (מוטציה) בגן DMD שמייצר חלבון הנקרא דיסטרופין. דיסטרופין דרוש על מנת שהשרירים יפעלו כראוי. חולים עם DMD אינם מסוגלים לייצר גרסה פעילה של חלבון זה.

הגן לייצור חלבון מיקרו-דיסטרופין של אלוודיס מועבר לתאי השריר על ידי נגיף מותאם שאינו גורם למחלה. אלוודיס עוזרת לגוף ילדך לייצר חלבון מיקרו-דיסטרופין של אלוודיס, גרסה מקוצרת של דיסטרופין שעוזרת להגן על השרירים מפני נזק.

2) לפני השימוש בתרופה

אין להשתמש בתרופה אם:

- ילדך רגיש (אלרגי) לחומר הפעיל דלאנדיסטרוג'ן מוקספארבווק או לכל אחד מהמרכיבים הנוספים אשר מכילה התרופה (ראה סעיף 6 – "מידע נוסף"). אם אתה חושב שילדך עלול להיות רגיש, היוועץ ברופא המטפל או באחות.
- בדיקה גנטית מראה כי בגן ה-DMD של ילדך חסר חלק כלשהו מקטע מסוים של הגן (אקסון 8 ו/או אקסון 9).
- אם יש לך או לילדך חששות ביחס לצורך של ילדך לקבל אלודיס, היוועץ עם הרופא או האחות.

אזהרות מיוחדות הנוגעות לשימוש בתרופה

לפני ההחלטה על הטיפול באלודיס:

כדי לעזור בהחלטה האם אלודיס מתאימה לילדך, על הרופא המטפל:

- לעשות, או שכבר עשה, סוג של בדיקת רפואית שמזהה שינויים בגנים.
- לבדוק נוגדנים מסוימים (חלבון שמיוצר על ידי מערכת החיסון של הגוף).

לפני הטיפול באלודיס ספר לרופא המטפל או לאחות אם:

- לילדך היו בעיות כלשהן בכבד. זה חשוב מאחר שלאחר טיפול באלודיס ילדך עלול להיות בסיכון גבוה יותר לפתח בעיות בכבד או להחמרה של בעיות כבד קיימות.
- ילדך לוקח תרופות או תוספי תזונה כלשהם.
- לילדך יש סימנים של זיהום (למשל חום, שיעול, אף מנוזל, כאב גרון). זיהום לפני קבלת אלודיס עלול להוביל לתופעות לוואי חמורות יותר.

למידע נוסף ראה סעיף "בדיקות ומעקב - לפני הטיפול באלודיס" וסעיף "חיסונים".

לאחר הטיפול באלודיס ספר מייד לרופא המטפל או האחות אם:

יש לילדך סימן או תסמין כלשהו מהבאים:

בעיות בכבד

- תרופה זו עשויה להוביל לעלייה באנזימי כבד (חלבונים הנמצאים בתוך הגוף) בדם, כך שיתכן שהכבד ניזוק או דלקתי.
- סימנים או תסמינים עשויים לכלול צהבת (הצהבה של העור או של החלק הלבן בעיניים), כאב בטן, הרגשת עייפות או הקאה (ראה סעיף 4 למידע נוסף).

דלקת בשרירים

לאחר קבלת אלודיס ילדך עלול לחוות:

- מיוסיטיס (דלקת של השרירים):
 - סימנים או תסמינים עשויים לכלול חולשה לא רגילה בשריר, כאב או רגישות בשריר, בעיות בדיבור (קול חלש), בבליעה או בנשימה (ראה סעיף 4 למידע נוסף).
 - תופעה זו נצפתה במטופלים שיש להם חלק מסוים חסר בגן (אקסון 8 ו/או אקסון 9), ראה סעיף 2 "אין להשתמש בתרופה אם".
 - קיים סיכון למטופלים עם שינויים אחרים (הידועים כמוטציות) בגן ה-DMD.
 - הרופא המטפל עשוי לבדוק האם הלב של ילדך מושפע.
- מיוקרדיטיס (דלקת של שריר הלב), סימנים או תסמינים עשויים לכלול:

- קוצר נשימה, הרגשת עייפות, כאב או אי נוחות בחזה, נפיחות בקרסוליים או ברגליים, קצב לב לא סדיר ועילפון (ראה סעיף 4 למידע נוסף).

זיהום

- זיהום לאחר טיפול באלוודיס עשוי להוביל לתופעות לוואי חמורות יותר.
- סימנים או תסמינים עשויים לכלול שיעול, צפצופים בנשימה, התעטשויות, אף מנוזל, כאב גרון או חום.

ספר לרופא המטפל או האחות אם ילדך מפתח תופעת לוואי **כלשהי** (ראה סעיף 4 למידע נוסף).

ילדים ומתבגרים

אלוודיס מיועדת לטיפול בילדים בגילאים 4 עד 5 שנים שיכולים ללכת (אמבולטוריים) עם ניוון שרירים על שם דושן (DMD) עם מוטציה ודאית בגן DMD.

למידע נוסף ראה סעיף "מידע נוסף למטופלים/הורים/מטפלים".

בדיקות ומעקב

לפני הטיפול באלוודיס

ילדך יבצע בדיקת דם כדי לבדוק את:

- תפקוד הכבד.
- מספר טסיות הדם (תאי דם שמונעים ועוצרים דימום) בדם שלו.
- רמת טרופונין-I (חלבון שמשוחרר כאשר שריר הלב ניזוק) בדם שלו.

לאחר הטיפול באלוודיס

חשוב מאוד ללכת לכל ביקורי המשך והבדיקות. לאחר הטיפול, ילדך יבצע בדיקות דם סדירות בתדירות שתקבע על ידי הרופא, כדי לנטר:

- תפקודי כבד, כולל עלייה באנזימי כבד.
- שינויים במספר טסיות הדם.
- שינויים ברמות חלבון הלב (טרופונין-I).

אינטראקציות/תגובות בין תרופתיות

אם אתה לוקח או אם לקחת לאחרונה תרופות אחרות, כולל תרופות ללא מרשם ותוספי תזונה, ספר על כך לרופא או לרוקח. במיוחד אם אתה לוקח:

קורטיקוסטרואידים

- ילדך יקבל תרופה נוספת (קורטיקוסטרואידים) למשך תקופה של כחודשיים או יותר כחלק מהטיפול באלוודיס.
- אם ילדך כבר לוקח תרופת קורטיקוסטרואיד הרופא המטפל ינחה אותך כיצד יעלה מינון תרופת הקורטיקוסטרואיד.
- המינון תלוי במשקל ילדך. הרופא המטפל יחשב את המנה הכוללת שצריכה להינתן.
- חשוב שילדך יקבל את הטיפול בהתאם להנחיות.
- תרופת הקורטיקוסטרואיד תעזור לשלוט בעלייה באנזימי הכבד שילדך עשוי לפתח לאחר קבלת אלוודיס והמינון עשוי לעלות במידת הצורך.

- צור קשר מייד עם הרופא המטפל או חפש עזרה רפואית דחופה אם ילדך לא לוקח או מקיא מייד לאחר נטילת מנה של קורטיקוסטרואידים.

חיסונים

- קורטיקוסטרואידים יכולים להשפיע על מערכת החיסון (ההגנה) של הגוף. הרופא המטפל עשוי להחליט לשנות את מועד החיסונים (לפני ואחרי טיפול באלוודיס).
- היוועץ ברופא המטפל או האחיות אם יש לך שאלות.

מידע נוסף למטופלים/הורים/מטפלים

עיין בעלון זה, במדריך למטפל ובכרטיס למטופל לאחר שילדך קיבל טיפול באלוודיס.

שמירה על היגיינה

- וקטור ה-AAV (וירוס מותאם) באלוודיס יעבור באופן זמני ליציאות הגוף של ילדך (שתן, צואה או רוק) לאחר הטיפול. זה נקרא 'shedding'.
- הורים ומטפלים צריכים להקפיד על היגיינת ידיים טובה למשך **חודש אחד** לאחר הטיפול באלוודיס.
 - השתמש בכפפות מגינות כאשר אתה מטפל ביציאות הגוף והנזלים של ילדך.
 - שטוף ביסודיות את ידיך עם מים זורמים וסבון לאחר הטיפול ביציאות הגוף והנזלים של ילדך.
 - השלך בפסולת הביתית חיתולים מלוכלכים ושאר פסולת בשקיות פלסטיק כפולות אטומות.
- היוועץ ברופא המטפל או האחיות אם יש לך שאלות.

(3) כיצד תשתמש בתרופה?

יש להשתמש בתכשיר תמיד בהתאם להוראות הרופא. עליך לבדוק עם הרופא או הרוקח אם אינך בטוח בנוגע למינון ואופן הטיפול בתכשיר. המינון ואופן הטיפול ייקבעו על-ידי הרופא בלבד.

אלוודיס ניתנת על ידי רופא או אחות המיומנים בטיפול במחלת ה-DMD של ילדך.

הרופא המטפל יחשב את כמות אלוודיס שילדך יקבל לפי משקל ילדך.

אלוודיס ניתנת כעירוי תוך ורידי (לתוך הווריד) בעירווי אחד למשך כשעה-שעתיים או יותר אם צריך.

אלוודיס ניתנת פעם אחת בלבד.

אין לעבור על המנה המומלצת.

יש להקפיד על הוראות הטיפול והמעקב כפי שנקבעו על ידי הרופא.

אין ליטול תרופות בחושך! בדוק התווית והמנה בכל פעם שאתה נוטל תרופה. הרכב משקפיים אם אתה זקוק להם.

אם יש לך שאלות נוספות בנוגע לשימוש בתרופה, היוועץ ברופא או ברוקח.

(4) תופעות לוואי

כמו בכל תרופה, השימוש באלוודיס עלול לגרום לתופעות לוואי בחלק מהמשתמשים. אל תיבהל למקרא רשימת תופעות הלוואי. ייתכן שלא תסבול מאף אחת מהן.

פנה לעזרה רפואית דחופה אם יש לילדך סימן או תסמין כלשהו מהבאים לאחר הטיפול באלוודיס:

תופעות לוואי שכיחות (עשויות להשפיע על עד אחד מתוך עשרה משתמשים):

- חולשה לא רגילה בשריר, כאב או רגישות בשריר, ובעיות בדיבור (קול חלש), בבליעה או בנשימה – אלו עשויים להיות סימנים לדלקת בשרירים (מיזיטיס – ראה סעיף 2).

תופעות לוואי שכיחותן אינה ידועה (תופעות שכיחותן טרם נקבעה):

- צהבת (הצהבה של העור או של החלק הלבן בעיניים), כאב בטן, הרגשת עייפות או הקאה – אלו עשויים להיות סימנים של פגיעה בכבד.
- קוצר נשימה, הרגשת עייפות, כאב או אי נוחות בחזה, נפיחות בקרסוליים או ברגליים, קצב לב לא סדיר, ועילפון – אלו עשויים להיות סימנים של בעיות אפשריות בלב.

היוועץ ברופא המטפל או האחות אם ילדך מפתח כל תופעת לוואי אחרת. אלה יכולות לכלול:
תופעות לוואי שכיחות מאוד (עשויות להשפיע על יותר ממשתמש אחד מתוך עשרה):

- הקאה
- בחילה
- עלייה באנזימי כבד שנצפתה בבדיקות דם
- חום
- ירידה במספר הטסיות שנצפתה בבדיקות דם

אם הופיעה תופעת לוואי, אם אחת מתופעות הלוואי מחמירה או כאשר אתה סובל מתופעת לוואי שלא צוינה בעלון, עליך להתייעץ עם הרופא.

חלק מתופעות הלוואי יכולות להופיע גם פרק זמן מסוים לאחר הטיפול ולא דווקא מייד אחריו.

דיווח על תופעות לוואי

ניתן לדווח על תופעות לוואי למשרד הבריאות באמצעות לחיצה על הקישור "דיווח על תופעות לוואי עקב טיפול תרופתי" שנמצא בדף הבית של אתר משרד הבריאות (www.health.gov.il) המפנה לטופס המקוון לדיווח על תופעות לוואי, או על ידי כניסה לקישור: <https://sideeffects.health.gov.il>

5) איך לאחסן את התרופה?

מנע הרעלה! תרופה זו וכל תרופה אחרת יש לשמור במקום סגור מחוץ להישג ידם ולטווח ראייתם של ילדים ו/או תינוקות ועל ידי כך תמנע הרעלה. אל תגרום להקאה ללא הוראה מפורשת מהרופא.

המידע הבא מיועד לצוות הרפואי אשר יכין וייתן את התרופה.

- הרחק את התרופה מהישג ידם וטווח ראייתם של ילדים.
- בקבוקונים יישלחו קפואים (בטמפרטורה של 60°C או פחות). עם קבלתם, יש לאחסן את הבקבוקונים בהקפאה (בטמפרטורה של 60°C או פחות).
- ניתן לשמור את התרופה במקרר בטמפרטורה של 2°C - 8°C .
 - כאשר התרופה בקירור, יש להשתמש בה בתוך 14 יום.
 - יש לכתוב את תאריך התפוגה החדש על האריזה החיצונית של התרופה לפני ששומרים אותה במקרר.

- לאחר הפשרה, אין להקפיא מחדש ואין לנער.
 - אין להחזיר את התרופה למקרר לאחר שהתרופה הגיעה לטמפרטורת החדר.
 - אין להשתמש בתרופה לאחר תאריך התפוגה אשר מצוין על גבי תווית הבקבוקון ועל גבי האריזה החיצונית. תאריך התפוגה המצוין על גבי האריזה החיצונית מתייחס לחיי המדף של התרופה כאשר היא מאוחסנת בטמפרטורה של 60°C או פחות. תאריך התפוגה מתייחס ליום המדויק בחודש.
 - התרופה מכילה אורגניזמים מהונדסים גנטית. יש להשליך תרופה שלא נעשה בה שימוש ושאריות תרופה בהתאם להנחיות המקומיות לטיפול בפסולת ביולוגית.
- אל תשליך תרופות לפח האשפה הביתי או למי הביוב. שאל את הרוקח כיצד להשליך תרופות שאין לך יותר שימוש בהן. צעדים אלו יעזרו להגן על הסביבה.

6 מידע נוסף

מה אלוודיס מכילה?

- החומר הפעיל הינו דלאנדיסטרוג'ן מוקספארבווק. כל מ"ל של דלאנדיסטרוג'ן מוקספארבווק מכיל 1.33×10^{13} וקטור גנומי.
- נוסף על החומר הפעיל התרופה מכילה גם:**
sodium chloride, tromethamine HCL, tromethamine, magnesium chloride, poloxamer 188 and water for injection.

כיצד נראית אלוודיס ומה תוכן האריזה:

אלוודיס היא נוזל צלול לעירוי, חסר צבע, שעשוי להיות בעל מידת מה של עכירות ועשוי להכיל חלקיקים לבנים עד אופק וייט.

אלוודיס מסופקת בבקבוקונים של 10 מ"ל. כל בקבוקון הינו לשימוש חד פעמי בלבד.

כל אריזה מכילה 10 עד 35 בקבוקונים, או 36 עד 70 בקבוקונים.

בעל הרישום וכתובתו: רוש פרמצבטיקה (ישראל) בע"מ, ת.ד. 6391, הוד השרון 4524079.

שם היצרן וכתובתו: F. Hoffmann-La Roche Ltd., Grenzacherstrasse 124, CH-4070 Basel, Switzerland

עלון זה נבדק ואושר על ידי משרד הבריאות בתאריך יוני 2024.

מספר רישום התרופה בפנקס התרופות הממלכתי במשרד הבריאות:
176-89-37834-00

לשם הפשטות ולהקלת הקריאה עלון זה נוסח בלשון זכר. על אף זאת, התרופה מיועדת לבני שני המינים.