

עלון לצרכן לפי תקנות הרוקחים (תכשירים) התשמ"ו - 1986
התרופה משווקת על פי מרשם רופא בלבד

טרנסלרנה 125 מ"ג
טרנסלרנה 250 מ"ג
טרנסלרנה 1000 מ"ג
גרגרים להכנת תרחיף

חומרים פעילים וכמותם

טרנסלרנה 125 מ"ג

כל שקית גרגרים מכילה 125 מ"ג של אטאלורן (ataluren 125 mg).

טרנסלרנה 250 מ"ג

כל שקית גרגרים מכילה 250 מ"ג של אטאלורן (ataluren 250 mg).

טרנסלרנה 1000 מ"ג

כל שקית גרגרים מכילה 1000 מ"ג של אטאלורן (ataluren 1000 mg).

חומרים בלתי פעילים – ראה סעיף 6 "מידע נוסף" בעלון זה.

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

1. למה מיועדת התרופה?

טרנסלרנה מיועדת לטיפול במחלת ניוון שרירים ע"ש דושן, הנגרמת ממוטציה בגן המאפשר תפקוד נורמלי של השריר. מחלת דושן נגרמת כתוצאה מבעיה בחלבון בשריר הנקרא דיסטרופין. כתוצאה מכך, השרירים לא עובדים בצורה נאותה.
טרנסלרנה מאפשרת יצירת דיסטרופין תקין וכך היא עוזרת לשרירים לתפקד בצורה נאותה.
התרופה מיועדת לחולים בניוון שרירים ע"ש דושן, אשר הוכח במבחן גנטי שיש בהם מוטציה בגן הדיסטרופין והם בני שנתיים ומעלה ומסוגלים ללכת.

2. לפני השימוש בתרופה

אין להשתמש בתרופה אם:

- אתה רגיש (אלרגי) לאטאלורן או לאחד מהמרכיבים הנוספים אשר מכילה התרופה - ראה סעיף 6 "מידע נוסף".
- אתה מקבל זריקות אנטיביוטיקה ממשפחת האמינוגליקוזידים דרך הווריד, כגון גנטמיצין, טוברמיצין או סטרפטומיציין.

אזהרות מיוחדות הנוגעות לשימוש בתרופה:

- אם אתה סובל מבעיות כליה, עליך להיות בפיקוח רפואי סדיר.
- אם אתה סובל מבעיות כליות חמורות ($eGFR < 30 \text{ ml/min}$) או אם אתה מטופל בדיאליזה בגלל חוסר תפקוד של הכליות (מחלת כליות סופנית) הרופא שלך יקבע אם הטיפול בטרנסלרנה מתאים לך.

ילדים

התרופה לא מיועדת לילדים מתחת לגיל שנתיים או השוקלים פחות מ-12 קילוגרמים, כיוון שהיא לא נבדקה בקבוצת חולים זו.

בדיקות ומעקב

הרופא יבדוק את רמות השומנים (כגון כולסטרול וטריגליצרידים) בדם ואת תפקוד הכליות שלך כל 6 עד 12 חודשים. אם אתה מטופל בתרופות ממשפחת הקורטיקוסטרואידים, הרופא יינטר את לחץ הדם שלך כל 6 חודשים.

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 יש ליידע את הרופא או הרוקח אם אתה לוקח את התרופות הבאות: אין להשתמש בטרנסלרנה יחד עם אנטיביוטיקה ממשפחת האמינוגליקוזידים כגון גנטמיצין, טוברמיצין או סטרפטומיצין הניתנת בהזרקה, מכיוון שהדבר עלול להשפיע על תפקוד הכליות.

- אציקלוויר – המשמשת לטיפול באבעבועות רוח,
- אדפוור – המשמשת לטיפול כרוני בהפטיטיס B ו־HIV,
- אטרווסטטין, פיטווסטטין, פרווסטטין, רווסוסטטין – המשמשות להורדת רמות השומנים בדם,
- בנזילפניצילין – המשמשת לזיהומים חמורים,
- בומטניד, קפטופריל, פורסמיד, וולטרטן – המשמשות לטיפול או מניעה של אי ספיקת לב,
- ציפופלוקסין – המשמשת לטיפול בזיהומים,
- פמוטידין – המשמשת לטיפול בכיב תריסריון, ריפלוקס קיבתי-ושטי,
- מתוטרקסאט – המשמשת לטיפול בדלקת מפרקים שגרונתית, פסוריאזיס,
- אולמסרטן – המשמשת ליתר לחץ דם במבוגרים,
- אוסלמיוויר – המשמשת למניעת שפעת,
- פנוברביטל – המשמשת להשריית שינה, מניעת התקפים,
- ריפמיצין – המשמשת לטיפול בשחפת,
- סיטגליפטין – המשמשת לסוכרת מסוג 2.
- חלק מתכשירים אלו לא נבדקו במתן עם טרנסלרנה, על כן עליך להיות במעקב צמוד של הרופא שלך.

שימוש בתרופה ומזון

יש ליטול את התרופה לאחר שעורבבה בתוך נוזל או במזון מוצק למחצה (יוגורט או רסק תפוחים). ראה הוראות הכנה בסעיף 3.

היריון והנקה

אם את בהיריון או מיניקה, חושבת שאת בהיריון או מתכננת להרות, היוועצי ברופא שלך לפני תחילת השימוש בתרופה.

אם הרית במהלך השימוש בתרופה, פני מיד אל הרופא, מכיוון שלא מומלץ להשתמש בתרופה במהלך היריון. לא ידוע אם החומר הפעיל בטרנסלרנה מופרש לחלב האם ולכן לא ניתן לשלול סיכון לתינוקות יונקים. יש להפסיק את ההנקה במהלך הטיפול בתרופה.

נהיגה ושימוש במכונות

אם אתה מרגיש סחרחורת, אל תנהג, אל תרכב על אופניים ואל תפעיל מכונות.

3. כיצד תשתמש בתרופה?

יש תמיד להשתמש בתרופה בהתאם להוראות הרופא. עליך לבדוק עם הרופא או הרוקח אם אינך בטוח בנוגע למינון ואופן הטיפול בתכשיר.

המינון ואופן הטיפול יקבעו על ידי הרופא בלבד.

המינון המקובל בדרך כלל הוא: 10 מ"ג לק"ג משקל גוף בבוקר, 10 מ"ג לק"ג משקל גוף באמצע היום ו-20 מ"ג לק"ג משקל גוף בערב (סה"כ 40 מ"ג לק"ג משקל גוף ביום).

יש ליטול את התרופה 3 פעמים ביום בזמנים קבועים. טווח הזמן בין מנת הבוקר למנת אמצע היום ובין

מנת אמצע היום למנת הערב חייב להיות 6 שעות, וממנת הערב למנת הבוקר של היום למחרת - 12

שעות. לדוגמא, אתה יכול לקחת את התרופה ב-07:00 בבוקר עם ארוחת בוקר, ב-13:00 אחר הצהריים עם ארוחת צהרים ושוב בסביבות השעה 19:00 בערב עם ארוחת הערב.

להלן טבלה הממחישה את המספר וחוזק השקיות בהן יש להשתמש לפי משקל גוף ושעת היום.

מספר שקיות									טווח משקל ק"ג	
ערב			אמצע היום			בוקר				
שקיות 1000 מ"ג	שקיות 250 מ"ג	שקיות 125 מ"ג	שקיות 1000 מ"ג	שקיות 250 מ"ג	שקיות 125 מ"ג	שקיות 1000 מ"ג	שקיות 250 מ"ג	שקיות 125 מ"ג		
0	1	0	0	0	1	0	0	1	14	12
0	1	1	0	0	1	0	0	1	16	15
0	1	0	0	1	0	0	1	0	20	17
0	1	1	0	1	0	0	1	0	23	21
0	2	0	0	1	0	0	1	0	26	24
0	2	1	0	1	0	0	1	0	31	27
0	2	1	0	1	1	0	1	1	35	32
0	3	0	0	1	1	0	1	1	39	36
0	3	1	0	1	1	0	1	1	44	40
0	3	1	0	2	0	0	2	0	46	45
1	0	0	0	2	0	0	2	0	55	47
1	1	0	0	2	0	0	2	0	62	56
1	1	0	0	3	0	0	3	0	69	63
1	2	0	0	3	0	0	3	0	78	70
1	3	0	0	3	0	0	3	0	86	79
1	3	0	1	0	0	1	0	0	93	87
2	0	0	1	0	0	1	0	0	105	94
2	1	0	1	0	0	1	0	0	111	106
2	1	0	1	1	0	1	1	0	118	112
2	2	0	1	1	0	1	1	0	125	119

יש להקפיד על שתיה מרובה על מנת למנוע התייבשות בזמן הטיפול בתרופה.
אין לעבור על המנה המומלצת.

אופן שימוש בתרופה:

יש ליטול את התרופה בתוך נוזל או מזון מוצק למחצה (כגון יוגורט או רסק תפוחים).
 פתח את השקית רק לקראת השימוש בתרופה. השתמש בכל הכמות שבשקית. ערבב היטב את כל תכולת
 השקית בלפחות 30 מ"ל של נוזל (מים, חלב, מיץ פירות) או ב-3 כפות של מזון מוצק למחצה כגון יוגורט או
 רסק תפוחים.
 ערבב היטב לפני השימוש. ניתן להגדיל את כמות הנוזל או המזון המוצק למחצה לפי הצורך.

אם נטלת בטעות מינון גבוה יותר ייתכן שתרגיש כאב ראש קל, בחילה, הקאות או שלשולים. אם נטלת מנת
 יתר או אם בטעות בלע ילד מן התרופה, פנה מיד לרופא או לחדר מיון של בית החולים והבא את אריזת
 התרופה איתך.

אם שכחת ליטול את התרופה במועד המיועד:

במקרה ואיחרת בנטילת המנה בפחות מ-3 שעות אחרי מנת הבוקר או אמצע היום או בפחות מ-6 שעות
 ממנת הערב, קח את המנה וזכור לקחת את המנה הבאה בזמן.
 במקרה ואתה מאחר ביותר מ-3 שעות לאחר מנת הבוקר או מנת אמצע היום או ביותר מ-6 שעות ממנת
 הערב, אל תיקח את המנה, והקפד לקחת את המנות הבאות בזמן.
 אין ליטול מנה כפולה על מנת לפצות על המנה שהוחמצה. חשוב ליטול את המנה הנכונה. טרנסלרנה עלולה
 לא להועיל אם תיקח מנה גדולה מהמומלץ.

יש להתמיד בטיפול כפי שהומלץ על ידי הרופא.

גם אם חל שיפור במצב בריאותך, אין להפסיק את הטיפול בתרופה ללא התייעצות עם הרופא או הרוקח.

אין ליטול תרופות בחושך! בדוק את התווית והמנה בכל פעם שאתה נוטל תרופה. הרכב משקפיים אם אתה זקוק להם. אם יש לך שאלות נוספות בנוגע לשימוש בתרופה, היועץ ברופא או ברוקח.

4. תופעות לוואי

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

תופעות לוואי שכיחות מאוד (תופעות שמופיעות ביותר ממשתמש אחד מעשרה): הקאות.

תופעות לוואי שכיחות (תופעות שמופיעות ב 10-1 משתמשים מתוך 100): ירידה בתיאבון, רמת טריגליצרידים גבוהה בדם, כאב ראש, בחילות, ירידה במשקל, לחץ דם גבוה, שיעול, דימום מהאף, עצירות, גזים, אי נוחות בבטן, כאבי בטן, פריחה, כאבי זרועות או רגליים, כאב בחזה, מתן שתן בלתי רצוני, דם בשתן, חום.

תופעות לוואי ששכיחותן אינה ידועה: עלייה ברמות השומנים בדם, עלייה בערכי בדיקת תפקודי כליות.

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

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. כיצד לאחסן את התרופה?

מנע הרעלה! תרופה זו וכל תרופה אחרת יש לשמור במקום סגור מחוץ להישג ידם וטווח ראייתם של ילדים ו/או תינוקות ועל ידי כך תמנע הרעלה. אל תגרום להקאה ללא הוראה מפורשת מהרופא. אין להשתמש בתרופה לאחר תאריך התפוגה (exp. date) המופיע על גבי האריזה. תאריך התפוגה מתייחס ליום האחרון של אותו חודש. אחסן בטמפרטורה מתחת ל-30°C. יש ליטול מייד לאחר ההכנה. ניתן להשתמש במנה המוכנה תוך 24 שעות אם נשמרה במקרר (2-8°C) או תוך 3 שעות אם נשמרה בטמפרטורת החדר 15-30°C. אחרת יש לזרוק את המנה. אין לזרוק תרופות לאשפה הביתית. התייעץ עם הרוקח כיצד להשמיד את התרופה שלא בשימוש.

6. מידע נוסף

נוסף על החומר הפעיל, התרופה מכילה גם:

mannitol, polydextrose, polyethylene glycol 3350, crospovidone, poloxamer 407, hydroxyethyl cellulose, colloidal silicon dioxide, magnesium stearate, artificial vanilla flavor

כיצד נראית התרופה ומהו תוכן האריזה?

טרנסלרנה הינה תרופה בצורת גרגרים בצבע לבן-שמנת הארוזים בשקיות בודדות. בכל קופסה יש 30 שקיות.

בעל הרישום וכתובתו:

מדיסון פארמה בע"מ, השילוח 10, ת.ד. 7090, פתח תקוה, ישראל

שם היצרן וכתובתו:

PTC Therapeutics International Limited
5th Floor, 3 Grand Canal Plaza, Grand Canal Street Upper, Dublin 4, D04 EE70, Ireland

נערך ביולי 2023 בהתאם להנחיות משרד הבריאות.

מספר רישום התרופה בפנקס התרופות הממלכתי במשרד הבריאות:

טרנסלרנה 125 מ"ג: 154-26-34264-00

טרנסלרנה 250 מ"ג: 154-27-34266-00

טרנסלרנה 1000 מ"ג: 154-28-34267-00

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