

**חברת מידע למטופל/להורה
בנושא תסמונת המוליטית
אורמית לא-טיפוסית
(aHUS)**


SOLIRIS[®]
(e c u l i z u m a b)


ALEXION

זיהום מנינגוקוקי

זיהום הנגרם על-ידי החיידק ניסריה מנינגיטידיס (המכונה גם מנינגוקוקוס). חיידק זה יכול לגרום למנינגיטיס (דלקת קרום המוח) או לזיהום ממושט בדם (ספטיס / אלח דם).

טסיות

טסיות הן תאי דם שיכולים להידבק זה לזה ליצירת קרישי דם. בתסמונת aHUS יוצרות טסיות הדם קרישי דם בקלות רבה ומכיוון שהן מתכלות בתהליך יצירת הקרישים, בדיקת דם עלולה לגלות שיש לכם מספר נמוך של טסיות בדם.

כשל כליתי

מצב רפואי שבו מפסיקות הכליות לעבוד ואינן מסוגלות לסלק תוצרי פסולת או לווסת את כמות המים והחומרים החיוניים בגוף.

מיקרואנגיופתיה תרומבוטית (Thrombotic microangiopathy – TMA) (פקקת של כלי דם קטנים)

תיאור התהליך המתרחש בתסמונת aHUS – הרס כלי דם קטנים והיווצרות קרישי דם בתוך כלי דם פגועים אלו. TMA נגרמת על-ידי הפעלה כרונית ומופרזת של מערכת המשלים ומהווה את הגורם לנזק ולחולי של חולים בתסמונת aHUS.

מערכת המשלים (הידועה גם כשרשרת המשלים או המשלים בלבד)

מהווה חלק ממערכת החיסון שלכם, שבאופן תקין הורסת חיידקים ותאים זרים אחרים. בתסמונת aHUS היא מופעלת באופן כרוני ומופרז, מה שגורם נזק לרקמות שלכם על-ידי הרס של כלי דם קטנים וההיווצרות של קרישי דם. תהליכים אלו גורמים נזק לאיברים, בכללם המוח, הכליות הלב ואיברים אחרים.

פקקת (תרומבוזה) (אירועים תרומבוטיים)

היווצרות של קריש דם שיכול לעצור את זרימת הדם דרך כלי דם. בתסמונת aHUS יכולים להופיע קרישי דם בכלי דם קטנים, שבאופן טיפוסי מצויים בתוך המוח, הכליה, הלב ואיברים אחרים.

קרישי דם

הדם יכול ליצור קרישים כדי להפסיק דימום, אבל בתסמונת aHUS הדם יוצר קרישים בקלות רבה, מה שגורם לחסימת כלי דם ונזק לאיברים.

תאי דם אדומים

תאי דם הנושאים חמצן בעזרת קומפלקס חלבון המכונה המוגלובין. בתסמונת aHUS נהרסים תאי הדם האדומים תוך כדי תנועתם בכלי הדם הקטנים החסומים והפגועים.

תמס דם – המוליזה

הרס של תאי דם אדומים שיכול לגרום לסימנים ותסמינים של aHUS.

תמס דם כרוני – המוליזה כרונית

הרס תאי דם אדומים לאורך זמן (הרס כרוני).

תסמונת המוליטית אורמית בלתי טיפוסית (aHUS)

הפרעה נדירה הנגרמת על-ידי הפעלה כרונית ומופרזת של מערכת המשלים, שהיא חלק ממערכת החיסון התקינה שלכם. מערכת משלים פעילה יתר על המידה, מזיקה לכלי דם קטנים וגורמת להיווצרות קרישי דם בכל רחבי הגוף. תהליך זה מכונה מיקרואנגיופטיה תרומבוטית TMA. TMA יכול לגרום נזק לאיברים רבים בכללם המוח, הכליות והלב.

זיבה

מחלה זיהומית המועברת באמצעות מגע מיני אשר נגרמת ע"י חיידק ניסריה גונוריאה (Neisseria gonorrhoea) הנקראת גם גונוריאה. הזיהום עלול להתפשט ולגרום לזיהום נרחב בדם (ספסיס).

מדריך זה מיועד למטופל המבוגר והמתבגר הסובל מתסמונת המוליטית-אורמית בלתי טיפוסית (atypical Haemolytic Uremic Syndrome-aHUS) ועבור הורים לילדים ומתבגרים החולים בתסמונת aHUS. מדריך זה נותן לכם מידע אודות סוליריס, כיצד היא תינתן לכם ומידע בטיחותי חשוב שהנכם חייבים להיות מודעים לו. קיים גם מדריך נוסף המיועד במיוחד להורים לילדים צעירים, שתוכלו לקבל מהרופא שלכם אם תרצו.

מהי Soliris®?

סוליריס (SOLIRIS®) הינה תרופה המשמשת לטיפול בחולים בעלי תסמונת aHUS. זהו סוג של נוגדן חד-שבטי (מונוקלונלי) שעבר הומניזציה. נוגדנים הם חומרים, שכאשר הם נמצאים בתוך הדם, הם יכולים להיקשר למטרות ספציפיות. הומניזציה מתארת את העובדה שהנוגדן הונדס כך שיהיה דומה ככל האפשר לנוגדנים אנושיים. משמעות הביטוי חד-שבטי (מונוקלונלי) היא שכל התרופה מגיעה מנוגדן מקורי אחד, כלומר כולם זהים בדיוק.

תסמונת aHUS היא מחלה שבה חלק ספציפי ממערכת החיסון הטבעית, המכונה מערכת המשלים, פעילה יתר, בדרך כלל עקב פגם גנטי בוויסות התקין של מערכת המשלים. מערכת המשלים מופעלת כל הזמן וכאשר היא פעילה יותר מדי היא עלולה לגרום נזק לרקמות ולאיברים של הגוף עצמו. היא עושה זאת על-ידי גרימת הרס לכלי דם קטנים והיווצרות קרישי דם אשר חוסמים את זרימת הדם אל רקמות ואיברים. לתהליך זה ניתן השם הרפואי מיקרואנגיופתיה תרומבוטית - (פקקת תרומבוזה) בכלי דם קטנים). תרומבוזה זו שמתרחשת ב-aHUS יכולה לגרום נזק לאיברים רבים בכללם הכליה, המוח והלב.

סוליריס היא נוגדן אשר נקשר לאחד מהחלקים של מערכת המשלים וגורם לו להיות בלתי פעיל. לפיכך, סוליריס מונעת/מפחיתה הרס של כלי דם קטנים והיווצרות קרישי דם ומצמצמת את התסמינים ואת הנזק לאיברים שמתרחשים בתסמונת aHUS. מאחר שתסמונת aHUS הינה מחלה כרונית, סוליריס נועדה להיות טיפול לטווח ארוך.

מהם שיקולי הבטיחות הקשורים לסוליריס?

מידע בטיחותי חשוב

מאחר שסוליריס (SOLIRIS®) חוסמת חלק ממערכת החיסון שלכם היא מגבירה את הסיכון לזיהום על-ידי סוג של חיידק המכונה ניסריה מנינגיטידיס (Neisseria meningitidis). חיידק זה עלול לגרום למקרים של זיהומים מנינגוקוקיים (זיהום חריף בקרום המוח ו/או זיהום בדם) וזיהומים אחרים הנגרמים ע"י חיידק ניסריה (Neisseria), ביניהם גונוריה/ זיבה מפושטת.

זיהומים אלו דורשים טיפול דחוף והולם מאחר שהזיהום עלול להפוך במהירות לקטלני או למסכן חיים או להוביל ללקויות/נכויות קשות.

חשוב להבין את אמצעי הזהירות שיש לנקוט להפחתת הסיכון לזיהומים אלו ומה צריך לעשות אם הנכם מודאגים שאולי יש לכם זיהום (ראו להלן).

כאמצעי זהירות/בטיחות:

את/ה או ילדך חייב להתחסן נגד זיהום מנינגוקוקי לפחות שבועיים לפני התחלת הטיפול בסוליריס.

אם את/ה או ילדך התחיל טיפול בסוליריס פחות משבועיים לאחר קבלת חיסון מנינגוקוקי, את/ה או ילדך חייב לקבל טיפול אנטיביוטי למשך שבועיים מרגע מתן החיסון על מנת להפחית את הסיכון לזיהום הנגרם ע"י חיידק ניסריה מנינגיטידיס.

הרופא או האחות שלכם יודאו שתקבלו חיסון זה שבועיים לפחות, לפני העירוי הראשון שלכם או אם הדבר אינו אפשרי, תקבלו אנטיביוטיקה במשך שבועיים כדי לצמצם את הסיכון לזיהום. ילדים אשר ייתכן שלא יהיה זמין עבורם חיסון, יקבלו אנטיביוטיקה כדי להפחית את הסיכון לזיהום לאורך כל תקופת הטיפול.

ילדים ומתבגרים מתחת לגיל 18 יקבלו חיסון נגד חיידק המופילוס אינפלוזאנה (haemophilus influenza) וזיהומים פנאומוקוקיים בהתאם לקווים המנחים הלאומיים בנוגע לחיסון. יש לקבל חיסונים אלו שבועיים לפחות לפני תחילת הטיפול בסוליריס ועל-פי המלצות החיסון הלאומיות עבור כל אחת מקבוצות הגיל.

למידע נוסף נא לפנות לעלון כפי שאושר ע"י משרד הבריאות הישראלי

מהם התסמינים שצריכים להוות סימן אזהרה במהלך הטיפול?

החיסון מפחית את הסיכון לפתח זיהום, אולם אינו מבטל את הסיכון לגמרי.

עליכם להיות מודעים לסימנים ולתסמינים של זיהום ולהודיע מיידית לרופא שלכם אם מופיע אחד מהתסמינים הבאים:

- כאב ראש מלווה בבחילות או הקאות
- כאב ראש מלווה בקישיון בעורף או בגב
- חום
- פריחה
- בלבול
- כאבי שרירים חמורים בשילוב תסמינים דמויי שפעת
- רגישות לאור



אם אינכם מצליחים להשיג את הרופא שלכם, עליכם לפנות למחלקת רפואה דחופה בבית חולים (מיון) ולהראות להם את "כרטיס הבטיחות למטופל" שלכם.

הורים /אפוטרופוסים חוקיים של יילודים ותינוקות, **אנא היו מודעים לכך שיתכן שיהיה קשה להבחין בתסמינים האופייניים של כאב ראש, חום וקישיון עורף**, לכן יש לשים לב לתסמינים אחרים בתינוקות, לרבות חוסר פעילות, אי שקט, הקאות והזנה לקויה.



האם ישנם צעדים שעליי לנקוט לפני התחלת הטיפול?

- בטרם תחילת הטיפול בסוליריס, ישוחח איתכם הרופא שלכם על החשיבות של:
- קבלת חיסון נגד מנינגיטיס (דלקת קרום המוח) ובחלק מהמקרים, אנטיביוטיקה ספציפית, כדי לצמצם את הסיכון לזיהום על-ידי סוג חיידק המכונה ניסריה מנינגיטידיס.
 - הבנת התסמינים המשויכים לזיהומים ומה יש לעשות אם אתם חווים תסמינים אלו.
 - אם ילדכם הוא זה שמקבל טיפול – ההבנה שיש לחסן נגד חיידק המופילוס אינפלואנזה (שפעת) וזיהומים פנאומוקוקיים בהתאם לקווים המנחים הלאומיים בנוגע לחיסון זה שבועיים לפחות, בטרם תחילת הטיפול בסוליריס.
 - מעקב קפדני על-ידי הרופא שלכם בעקבות הפסקה כלשהי של טיפול בסוליריס.

למידע נוסף נא לפנות לעלון כפי שאושר ע"י משרד הבריאות הישראלי

הרופא או האחות שלכם יודאו שתקבלו חיסון נגד זיהום מנינגוקוקי שבועיים לפחות, לפני העירוי הראשון ובחלק מהמקרים, אנטיביוטיקה ספציפית, כדי להפחית את הסיכון לזיהום על-ידי ניסריה מנינגיטידיס. הרופא או האחות שלכם יודאו שתקבלו חיסון נגד זיהום מנינגוקוקי שבועיים לפחות לפני העירוי הראשון. אם את/ה או ילדך התחיל טיפול בסוליריס פחות משבועיים לאחר קבלת חיסון מנינגוקוקי, את/ה או ילדך חייב לקבל טיפול אנטיביוטי למשך שבועיים מרגע מתן החיסון על מנת להפחית את הסיכון לזיהום הנגרם ע"י חיידק ניסריה מנינגיטידיס.

בנוסף לכך, במהלך הטיפול יבוצע מעקב קפדני של מצבכם לגילוי זיהום מנינגוקוקי וזיהומים אחרים.

כיצד מתחילים טיפול ב-סוליריס?

סוליריס (SOLIRIS®) היא תרופה שמחייבת מרשם רופא.

תקבלו ערכה למתחיל המכילה:

- **"כרטיס בטיחות למטופל"**: חשוב מאוד לזהות ולטפל במהירות בסוגים מסוימים של זיהום במטופלים המקבלים סוליריס. לפיכך תקבלו "כרטיס בטיחות" אשר בו רשומים תסמינים ספציפיים שעליכם להיות ערניים לגביהם תמיד. עליכם לשאת כרטיס זה בכל עת ולהראותו לכל איש צוות רפואי שעמו הנכם נפגשים.
- **עלון מידע למטופל/ להורים בנושא תסמונת aHUS.**
- **מדריך להורים בנושא תסמונת aHUS יינתן להורים / אפוטרופוסים חוקיים של ילדים צעירים.**
- הרופא/ה שלכם יציע לכם להירשם ב**פנקס הרישום (registry)** בנושא תסמונת aHUS. הרופא הוא זה שרושם אתכם או את ילדכם בפנקס הרישום.

כיצד מתבצע מתן של סוליריס?

מתן של סוליריס (SOLIRIS®) נעשה באמצעות **עירוי תוך-ורידי** (החדרת תמיסה לתוך וריד). העירוי נמשך **25 עד 45 דקות**. ההכנה והמתן של התרופה חייבים להיעשות על-ידי רופא/ה או איש צוות רפואי מוסמך אחר.

בדומה לכל התרופות הניתנות על-ידי עירוי, סוליריס עלולה לגרום לתגובות מיידיות או מושהות (כולל תגובה אלרגית). במקרה כזה, יש לפנות לרופא המטפל.

בשל החשש לתגובה לעירוי (כולל תגובה אלרגית), לאחר כל עירוי שתקבל יבוצע ניטור של מצבך במשך כשעה אחת. יש למלא בקפידה אחר הוראות הרופא/ה שלך.

למידע נוסף נא לפנות לעלון כפי שאושר ע"י משרד הבריאות הישראלי

באיזה מינון של סוליריס נעשה שימוש?

למבוגרים:

שלב התחזוקה:

בשבוע החמישי הרופא ייתן לך עירו תוך-וריד של סוליריס מדוללת במינון של 1200 מ"ג (4 בקבוקונים של 30 מ"ל) במהלך פרק זמן של כ- 45 - 25 דקות.

לאחר השבוע החמישי, הרופא ייתן לך מנה של 1200 מ"ג (4 בקבוקונים של 30 מ"ל) אחת לשבועיים, כטיפול ארוך טווח.



שלב התחלתי:

בכל שבוע במשך ארבעת השבועות הראשונים, יבצע הרופא/ה שלכם מתן עירו תוך-וריד של סוליריס מדוללת. כל עירו יהיה מורכב ממנה של 900 מ"ג (3 בקבוקונים של 30 מ"ל) וימשך כ- 45-25 דקות.

לילדים ומתבגרים:

משקל גוף	שלב התחלתי	שלב התחזוקה
40 ק"ג \geq	900 מ"ג כל שבוע 4x	1200 מ"ג בשבוע 5; ואז 1200 מ"ג מידי שבועיים
30 עד > 40 ק"ג	600 מ"ג בכל שבוע 2x	900 מ"ג בשבוע 3; ואז 900 מ"ג מידי שבועיים
20 עד > 30 ק"ג	600 מ"ג בכל שבוע 2x	600 מ"ג בשבוע 3; ואז 600 מ"ג מידי שבועיים
10 עד > 20 ק"ג	600 מ"ג בשבוע 1x	300 מ"ג בשבוע 2; ואז 300 מ"ג מידי שבועיים
5 עד > 10 ק"ג	300 מ"ג בשבוע 1x	300 מ"ג בשבוע 2; ואז 300 מ"ג מידי 3 שבועות

ילדים ומתבגרים עם aHUS שמשקלם 40 ק"ג ומעלה, מטופלים במינון הניתן למבוגרים. לילדים ומתבגרים הסובלים מתסמונת aHUS שמשקלם מתחת ל-40 ק"ג דרוש מינון קטן יותר המבוסס על משקלם. חישוב המינון יעשה ע"י הרופא שלך.

חשוב מאוד לוודא **שלא תפסידו או תדחו פגישת טיפול מתוכננת**, על מנת להמשיך לחסום את הפעלת המשלים ולמנוע/להפחית הרס של כלי דם קטנים והיווצרות של קרישי דם בתוך כלי דם פגועים אלו. כך תוכלו להפיק את מרב התועלת מהטיפול בסוליריס.

במשך כמה זמן אצטרך לקחת סוליריס?

מאחר שתסמונת aHUS הינה מחלה כרונית, סוליריס מיועדת לטיפול מתמשך.

מטופלים המתחילים טיפול בסוליריס צריכים להמשיך ולקבל סוליריס, אף אם חל שיפור בהרגשתם. טיפול בסוליריס באופן בלתי רציף או הפסקתו, עלולים לגרום לחזרת התסמינים של תסמונת aHUS לאחר הפסקת הטיפול בסוליריס.

בחלק מהמטופלים שהפסיקו את הטיפול בסוליריס חזרו הסימנים והתסמינים של תסמונת aHUS. אין להפסיק טיפול בסוליריס מבלי לשוחח על כך עם הרופא המטפל וללא פיקוח רפואי.

אם הנכם מתכננים להפסיק את הטיפול בסוליריס, עליכם לשוחח לפני כן עם הרופא שלכם לגבי תופעות הלוואי והסיכונים האפשריים, הכוללים חזרה של הרס כלי דם קטנים והיווצרות קרישי דם, שעלולים לגרום ל:

- תסמינים שעשויים להופיע: הפחתה במתן שתן (בעיות בכליות), בלבול או שינוי במידת הערנות.
- בעקבות תוצאות של בדיקות דם: צניחה משמעותית ברמת הטסיות, מאחר שהן מתכלות בתהליך יצירת קרישי הדם, עלייה משמעותית בהרס תאי הדם האדומים, עלייה ברמת הקריאטינין בסרום (בעיות בכליות)
- כאבים בחזה או אנגינה, קוצר נשימה.

האם קיימים שיקולים נוספים בזמן קבלת טיפול בסוליריס?

סיכון לזיהום

עקב האופן שבו פועלת סוליריס בגוף, יש לתת אותה בזירות במקרה של זיהום מערכתי פעיל. ייתכן גם סיכון של זיהומים הנגרמים ע"י חיידק נסריה (Neisseria), ביניהם זיהום גונוקוקי ממושט. במידה וקיים אצלך סיכון של גונוריאה (זיהום המועבר במגע מיני) אנא פנה לייעוץ לרופא או רוקח לפני נטילת התרופה.

תגובות אלרגיות

סוליריס מכילה חלבון, חלבונים עלולים לגרום לתגובות אלרגיות בחלק מהאנשים. אם הנכם חווים סימנים או תסמינים כלשהם לאחר קבלת סוליריס, יש להתייעץ עם איש המקצוע הרפואי שלכם.

תרופות אחרות

חשוב להבין שאין לעשות שינוי בתרופות שהנכם נוטלים מבלי להתייעץ עם הרופא. אנא ודאו שהרופא שלכם יודע על כל התרופות שהנכם נוטלים.

קשישים

אין הנחיות זהירות מיוחדות עבור מטופלים מגיל 65 ומעלה.

תופעות לוואי

באופן כללי ישנה סבילות טובה לתרופה סוליריס. תופעות הלוואי השכיחות ביותר שדווח עליהן: כאב ראש, ספירה נמוכה של תאי דם לבנים (לויקופניה) ותופעת הלוואי החמורה ביותר היא דלקת קרום המוח. רוב כאבי הראש היו קלים וחלפו לאחר שלב המתן הראשוני של סוליריס.

מקורות:

1. עלון לרופא כפי שאושר ע"י משרד הבריאות הישראלי.

דיווח על תופעות לוואי:

ניתן לדווח על תופעות לוואי גם ישירות, למערכת הדיווח הלאומית של משרד הבריאות באמצעות לחיצה על הקישור "דיווח על תופעות לוואי עקב טיפול תרופתי" שנמצא בדף הבית של אתר משרד הבריאות (www.health.gov.il), ע"י כניסה לקישור המפנה לטופס המקוון לדיווח על תופעות לוואי: <https://forms.gov.il/globaldata/getsequence/getsequence.aspx?formType=AdversEffectMedic%40moh.gov.il> וליחידת בטיחות המטופלים בניאופרם – drugsafety@neopharmgroup.com, טל. 1800-250-255.

למידע נוסף, יש לעיין בעלון לרופא כפי שאושר ע"י משרד הבריאות הישראלי.

ניתן כשירות להדרכת המטופל ע"י ניאופרם
במקרה של צורך במידע נוסף ושאלות נוספות
ניתן להתקשר למוקד צרכנים : 1-800-250-255
או במייל : drugsafety@neopharmgroup.com

ALEXION

SOLIRIS®
(e c u l i z u m a b)

למידע נוסף נא לפנות לעלון כפי שאושר ע"י משרד הבריאות הישראלי

232-MAR-2019

The logo for Alexion, featuring the word "ALEXION" in a blue, sans-serif font. A blue swoosh underline is positioned above the letters "A", "L", and "E". A small red and white graphic element is located above the letter "X".The logo for Soliris (eculizumab), featuring the word "SOLIRIS" in a bold, blue, sans-serif font with a registered trademark symbol. Below it, the word "(eculizumab)" is written in a smaller, blue, sans-serif font. An orange and yellow swoosh underline is positioned above the word "SOLIRIS".

אלקסיון פארמה ישראל בע"מ, בית ניאופרם, השילוח 6, ת.ד. 7063, פתח תקווה.