

**חברת מידע למטופל/להורה
בנושא המוגלובינוריה
לילית התקפית
(PNH)**

**SOLIRIS**[®]
(e c u l i z u m a b)

**ALEXION**

המסמך אושר לאחרונה בפברואר 2019 ע"י משרד הבריאות הישראלי

אנמיה

מצב שבו אין לגופך די תאי דם אדומים; מצב זה יכול להוביל לעייפות ולתסמינים אחרים.

נוגדי קרישה

נוגדי קרישה, נקראים לעתים גם מדללי דם, הם תרופות שמפחיתות את יכולת הקרישה של דם ועוזרות למנוע היווצרות של קרישי דם.

קרישי דם

כאשר טסיות רבות בדם נצמדות זו לזו, הן יוצרות קריש דם. קרישים אלה יכולים לחסום את זרימת הדם בורידים ובעורקים, בהתאם לגודלם ולמיקומם (ראה "פקקת").

תמס דם (המוליזה) כרוני

הרס של תאי דם אדומים (המוליזה) על פני תקופת זמן ממושכת (כרוני).

מערכת המשלים (מכונה גם רצף המשלים או פשוט המשלים)

חלק מהמערכת החיסונית שלך שמשמיד חיידקים ותאים זרים אחרים. במקרה של PNH, המשלים אחראי על השמדת תאי דם אדומים שאין להם חלבוני מגן ספציפיים.

המוגלובין

חומר בצבע אדום-חום הנמצא בתאי דם אדומים ונושא תמצן לכל חלקי הגוף. אחראי לצבע הכהה האופייני של השתן אצל חולי PNH.

המוגלובינוריה

המוגלובין בשתן. זהו המונח הטכני לתיאור שתן כהה "בצבע קולה" שנראה לעתים אצל חולי PNH. כאשר נגרם תמס או הרס של תאי הדם האדומים, כפי שקורה במחלת PNH, ההמוגלובין משתחרר מתאי הדם האדומים. כאשר לא כל ההמוגלובין מעובד על ידי מערכת הגוף, הוא נשלח החוצה כפסולת וצובע את השתן בצבע חום-קולה אופייני.

זיהום מנינגוקוקי

זיהום הנגרם על ידי החיידק *Neisseria meningitidis* (ניסריה מנינגיטידיס) המכונה גם מנינגוקוקוס.

זיהום זה יכול לגרום לדלקת קרום המוח (מנינגיטיס) או לזיהום מפושט בדם (אלח דם/ספסיס).

המוגלובינוריה לילית התקפית (PNH)

מחלת דם נדירה שבה מתרחש הרס או תמס כרוניים של תאי הדם האדומים על ידי מערכת המשלים. הדבר יכול להוביל לבעיות חמורות, לרבות אנמיה, עייפות ופקקת.

תאי דם אדומים (RBCs)

תאי דם שנושאים חמצן תוך שימוש בחלבון מורכב הנקרא המוגלובין. אצל חולי PNH, תאי הדם האדומים מותקפים ומושמדים על ידי מערכת המשלים באופן מתמיד, מכיוון שאינם מכילים חלבוני מגן חשובים.

פקקת - תרומבוזיס (אירועים תרומבוטיים)

היווצרות או התפתחות של קריש דם שלעתיים קרובות חוסם את זרימת הדם מבעד לכלי דם. אצל חולי PNH, קרישי דם יכולים להיווצר במקומות מקובלים, אך יכולים גם להופיע באתרים חריגים, כגון בתוך כלי דם בבטן (ראה "קרישי דם").

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 לחולים בוגרים ומתבגרים הסובלים מהמוגלובינוריה לילית התקפית (PNH), וכן להורים של ילדים ומתבגרים החולים ב-PNH. המדריך מציג מידע אודות SOLIRIS[®], אודות האופן שבו התרופה תינתן לך, וכן מידע בטיחות חשוב שעליך להיות מודע לו. ישנו גם מדריך אחר, המיועד במיוחד להורים של ילדים צעירים ושאותו ניתן לקבל מהרופא שלך.

מהי SOLIRIS[®]?

SOLIRIS[®] היא תרופה הניתנת לחולים ב-PNH. התרופה היא סוג של נוגדן חד-שבטי מואנש. נוגדנים הם חומרים שיכולים להיקשר בדם אל מטרות ספציפיות. המונח 'מואנש' מתייחס לעובדה שהנוגדן הונדס כך שיהיה דומה לנוגדנים אנושיים ככל האפשר. המונח 'חד-שבטי' פירושו שכל התרופה מגיעה מנוגדן מקורי יחיד, כלומר, הם כולם זהים בדיוק.

PNH היא מחלה שבה חלק מסוים של המערכת החיסונית הטבעית, המכונה מערכת המשלים, פעיל יתר על המידה, בדרך כלל בגלל פגם גנטי בוויסות הנורמאלי של מערכת המשלים. מערכת המשלים תמיד מופעלת וכאשר היא פעילה יתר על המידה היא יכולה להרוס תאי דם אדומים (תמס דם), תופעה שיכולה לגרום לספירות דם נמוכות, עייפות, קשיי תפקוד, כאב, שתן כהה, קוצר נשימה וקרישי דם.

התרופה SOLIRIS[®] היא נוגדן שנקשר לאחד מחלקי מערכת המשלים והופך אותו ללא-פעיל. לכן, התרופה SOLIRIS[®] מפחיתה את תמס הדם (הרס של תאי דם אדומים), שהוא הגורם לסימנים ולתסמינים של PNH. מכיוון ש-PNH היא מחלה כרונית, התרופה SOLIRIS[®] מיועדת לשימוש כטיפול ארוך-טווח.

מהם שיקולי הבטיחות בקשר לתרופה SOLIRIS®?

מידע בטיחותי חשוב

מכיוון ש-SOLIRIS® חוסמת חלק מהמערכת החיסונית שלך, היא מגדילה את הסיכון ללקות בזיהום חמור ובאלח דם, במיוחד על ידי סוג של חיידק הנקרא נייסריה 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 גונוריאה/ זיבה ממושטת.

זיהומים אלה מחייבים טיפול דחוף ומתאים, מכיוון שהם עלולים להפוך במהירות לקטלנים או למסכני חיים, או לגרום לנכויות קשות.

חשוב להבין את אמצעי הזהירות שיש לנקוט על מנת להפחית את הסיכון ללקות בזיהומים אלה, ומה עליך לעשות אם מתעורר אצלך חשש שלקית בזיהום (ראה בהמשך).

בתור אמצעי זהירות בטיחותי:

את/ה או ילדך חייב/ת להתחסן נגד זיהום מנינגוקוקי לפחות שבועיים לפני התחלת הטיפול ב-SOLIRIS®.

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

הרופא או האחות יודאו שתקבל/י את החיסון הזה לפחות שבועיים לפני מועד העירו הראשון שלך.

אם אין חיסון זמין כלשהו עבור ילדיך הצעירים או במקרה שיש לך התוויית-נגד לחיסון, את(ה)/ילדך תקבלו אנטיביוטיקה במשך כל תקופת הטיפול או עד שבועיים לאחר המועד שבו ניתן לתת את החיסון.

ילדים ומתבגרים שגילם פחות מ-18 יחוסנו נגד החיידק *Haemophilus influenzae* ונגד זיהומים פנאומוקוקים על פי הנחיות החיסון הלאומיות לפחות שבועיים לפני התחלת הטיפול בתרופה SOLIRIS® ועל פי המלצות החיסון הלאומיות עבור כל קבוצת גיל.

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

מהם התסמינים המזהירים שאליהם עלי לשים לב במהלך הטיפול?

החיסון מפחית את הסיכון להתפתחות זיהום, אולם הוא אינו מונע את הסיכון לחלוטין.

יהיה עליך להכיר את הסימנים והתסמינים של זיהום ולהודיע לרופא שלך באופן מיידי אם מופיע אצלך אפילו אחד מהתסמינים הבאים:

- כאב ראש מלווה בבחילה או הקאה
- כאב ראש מלווה בנוקשות בצוואר או בגב
- חום
- פריחה
- בלבול
- כאב שרירים חמור בשילוב עם תסמינים דמויי-שפעת.
- רגישות לאור



אם אין באפשרותך להשיג את הרופא שלך, פנה למחלקת מיון חירום והצג להם את כרטיס הבטיחות לחולה שברשותך.

לידיעת הורים/אפטרופסים של יילודים ותינוקות, **שימו לב שהתסמינים האופייניים של כאב ראש, חום ונוקשות בצוואר, עשויים להיות קשים לזיהוי**, ולכן יש לשים לב לתסמינים אחרים אצל ילדים, לרבות חוסר-פעילות, אי-שקט, הקאות והזנה לקויה.



האם ישנם דברים שעליי לעשות לפני התחלת הטיפול?

לפני התחלת הטיפול, הרופא שלך ישוחח אתך על חשיבות הדברים הבאים:

- קבלת חיסון נגד דלקת קרום המוח (מנינגיטיס) ובמקרים מסוימים, אנטיביוטיקה ספציפית על מנת להפחית את הסיכון לזיהום הנגרם ע"י חיידק ניסריה מנינגיטידיס.
- להבין את התסמינים הקשורים לזיהומים ומה עליך לעשות אם מופיעים אצלך/אצל ילדך/ילדייך התסמינים האלה.
- אם הטיפול מיועד לילדך, להבין שיש לחסן את הילד/ה נגד המופילוס אינפלואנזה ונגד זיהומים פנאומוקוקים על פי הנחיות החיסון הלאומיות לפחות שבועיים לפני התחלת הטיפול בתרופה SOLIRIS®.
- עמוד למעקב קפדני של הרופא שלך בעקבות כל הפסקת טיפול בתרופה SOLIRIS®.

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

הרופא או האחות יודאו שתקבל/י את החיסון נגד זיהום מנינגוקוקי לפחות שבועיים לפני מועד העירוי הראשון שלך. אם את/ה / ילדך מתחילה טיפול ב SOLIRIS® פחות משבועיים לאחר קבלת חיסון נגד זיהום מנינגוקוקי הרופא/ה או האחות שלך יודאו מתן אנטיביוטיקה עד שבועיים לאחר קבלת החיסון, כדי להפחית את הסיכון לזיהום על ידי ניסריה מנינגיטידיס

בנוסף, ייעשה מעקב הדוק לגילוי זיהום מנינגוקוקי וזיהומים אחרים במהלך תקופת הטיפול שלך.

כיצד מתחילים בטיפול ב-SOLIRIS®?

התרופה SOLIRIS® ניתנת אך ורק על פי מרשם רופא. תינתן לך גם ערכת-התחלה שמכילה:

- **כרטיס בטיחות לחולה:** ישנה חשיבות רבה לזיהוי ולטיפול מהירים בסוגים מסוימים של זיהום אצל חולים שמקבלים SOLIRIS®; לכן, יינתן לך כרטיס בטיחות שמפרט תסמינים ספציפיים שאליהם עליך לשים לב תמיד. עליך לשאת אתך את הכרטיס הזה בכל עת ולהציג אותו לכל איש מקצוע רפואי הנפגש אתך.
- **חברת מידע לחולה/להורה בנושא המוגלובינוריה לילית התקפית (PNH).**
- **מדריך להורים בנושא המוגלובינוריה לילית התקפית (PNH) יימסר להורים/אפוטרופוסים של ילדים צעירים.**
- **הרופא/ה שלך יציע לך/לילדך להשתתף במאגר רישום PNH. הרישום שלך/ של ילדך במאגר רישום זה יכול להיעשות על ידי הרופא שלך.**

מהו אופן המתן של התרופה SOLIRIS®?

התרופה SOLIRIS® ניתנת באמצעות עירוי תוך-ורידי (החדרת תמיסה לתוך הוריד). משך העירוי הוא 25 עד 45 דקות. הכנת העירוי ומתן העירוי חייבים להיעשות על ידי רופא/ה או איש מקצוע רפואי מוסמך אחר.

בדומה לכל התרופות הניתנות באמצעות עירוי תוך-ורידי, התרופה SOLIRIS® עשויה לגרום לתגובה מיידית או מאוחרת. במקרה כזה, נא לפנות לרופא/ה שלך.

מכיוון שקיים סיכון של תגובה לעירוי (לרבות תגובה אלרגית), לאחר כל עירוי יהיה עליך להיות תחת מעקב למשך שעה בערך. עליך להקפיד לפעול על פי הוראות הרופא שלך.

באיזה מינון של SOLIRIS® נעשה שימוש? עבור מבוגרים:

שלב תחזוקה

בשבוע החמישי, הרופא ייתן לך עירוני תוך-וריד של SOLIRIS® מדוללת במינון של 900 מ"ג (3 בקבוקונים של 30 מ"ל) על פני פרק זמן של 25 - 45 דקות.

לאחר השבוע החמישי, הרופא ייתן לך מנה של 900 מ"ג (3 בקבוקונים של 30 מ"ל) אחת לשבועיים, כטיפול ארוך טווח.



שלב התחלתי

מידי שבוע במשך ארבעת השבועות הראשונים, הרופא שלך ייתן לך עירוני תוך-וריד של SOLIRIS® מדוללת.

כל עירוני יכול מנה של 600 מ"ג (2 בקבוקונים של 30 מ"ל) וימשך 25 - 45 דקות.

עבור ילדים ומתבגרים:

משקל גוף	שלב התחלתי	שלב התחזוקה
40 ק"ג \geq	600 מ"ג מידי שבוע 4x	900 מ"ג בשבוע 5, לאחר מכן 900 מ"ג מידי שבועיים
30 עד > 40 ק"ג	600 מ"ג מידי שבוע 2x	900 מ"ג בשבוע 3, לאחר מכן 900 מ"ג מידי שבועיים
20 עד > 30 ק"ג	600 מ"ג מידי שבוע 2x	600 מ"ג בשבוע 3, לאחר מכן 600 מ"ג מידי שבועיים
10 עד > 20 ק"ג	600 מ"ג מידי שבוע 1x	300 מ"ג בשבוע 2, לאחר מכן 300 מ"ג מידי 2 שבועות
5 עד > 10 ק"ג	300 מ"ג מידי שבוע 1x	300 מ"ג בשבוע 2, לאחר מכן 300 מ"ג מידי 3 שבועות

ילדים ומתבגרים עם PNH שמשקלם 40 ק"ג ומעלה מטופלים על פי המלצות המינון הניתן למבוגרים.

ילדים ומתבגרים עם PNH שמשקלם פחות מ-40 ק"ג זקוקים למינון נמוך יותר, על פי משקלם. חישוב המינון יעשה על ידי הרופא/ה שלך.

חשוב מאוד לוודא שלא תוחמץ או תידחה אף פגישת טיפול מתוכננת על מנת להמשיך לשלוט בתמס הדם ולהפיק את מרב התועלת מהטיפול ב-SOLIRIS®.

למשך כמה זמן יהיה עליי ליטול SOLIRIS®?

מכיוון ש-PNH היא מחלה כרונית, התרופה SOLIRIS® מיועדת לטיפול מתמשך. על חולים שמתחילים ליטול SOLIRIS® להמשיך ליטול SOLIRIS®, גם אם מצבם משתפר.

הפסקה זמנית או מוחלטת של הטיפול ב-SOLIRIS® עלולה לגרום לחזרה של תסמיני PNH בצורה חמורה יותר זמן קצר אחרי הפסקת הטיפול בתרופה SOLIRIS®.

אסור לך להפסיק את הטיפול מבלי להיות נתון למעקב רפואי

אם בכוונתך להפסיק את הטיפול ב-SOLIRIS®, עליך לשוחח מראש עם הרופא המטפל על תופעות הלוואי והסיכונים האפשריים, הכוללים עלייה בהרס של תאי הדם האדומים שלך (תמס דם – המוליזה), שיכולה לגרום:

- ירידה משמעותית בספירת תאי הדם האדומים שלך (אנמיה)
- תחושת בלבול או ערנות-מופחתת
- כאבים בחזה או אנגינה
- בעיות בכליות (עלייה ברמת הקריאטינין בנסיוב הדם)
- קרישי דם (פקקת).

האם ישנם שיקולים נוספים שיש להביא בחשבון בעת נטילת SOLIRIS®?

סיכון לזיהום

בגלל מנגנון הפעולה שלה, מתן התרופה SOLIRIS® צריך להיעשות בזהירות אצל חולים עם זיהומים מערכתיים פעילים. 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 תרופה זו.

תגובות אלרגיות

התרופה SOLIRIS® מכילה חלבון וחלבונים יכולים לגרום לתגובות אלרגיות אצל אנשים מסוימים. אם מופיעים אצלך סימנים או תסמינים כלשהם אחרי קבלת התרופה SOLIRIS®, עליך להתייעץ עם איש המקצוע הרפואי המטפל בך.

תרופה אחרת

חשוב להבין שעליך להימנע משינויים בתרופות מסוימות הניטלות עתה, ובמיוחד נוגדי קרישה (מדללי דם), כגון אספירין או וורפרין, מבלי להתייעץ עם הרופא שלך. נא לוודא שהרופא שלך מכיר את כל התרופות שאתה נוטל/ת.

קשישים

אין אמצעי זהירות מיוחדים לגבי חולים המטופלים בתרופה שגילם 65 שנה ומעלה.

תופעות לוואי בלתי-רצויות

בדרך כלל ישנה סבילות טובה לתרופה SOLIRIS®. תופעות הלוואי השכיחות ביותר שעליהן דווח היו כאב ראש, ספירת תאי דם לבנים נמוכה (לויקופניה), ותופעת הלוואי החמורה ביותר היא זיהום מנינגוקוקלי. רוב כאבי הראש היו מתונים וחלפו לאחר שלב המתן ההתחלתי של התרופה SOLIRIS®.

1. עלון לרופא כפי שאושר ע"י משרד הבריאות הישראלי.
2. Hillmen P, Young NS, Shubert J, et al. The complement inhibitor eculizumab in paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. *N Engl J Med.* 2006; 355: 1233-1243.
3. Rosse WF, hillmen P, Schreiber AD. Immune-mediated hemolytic anemia. *Hematology (Am Soc Hematol Educ Program).* January 2004: 48-62.

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.

**במקרה של צורך במידע נוסף ושאלות נוספות,
ניתן להתקשר למוקד צרכנים: 1-800-250-255
או במייל: drugsafety@neopharmgroup.com**

ניתן כשירות להדרכת המטופל ע"י ניאופארם




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

233-MAR-2019



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