

## למשך כמה זמן יהיה עלי ליטול ULTOMIRIS®?

מכיוון ש-PNH היא מחלה כרונית, התרופה ULTOMIRIS® מיועדת לטיפול מתמשך. על חולים שמתחילים ליטול ULTOMIRIS® להמשיך ליטול ULTOMIRIS® גם אם מצבם משתפר. הפסקה זמנית או מוחלטת של הטיפול ב- ULTOMIRIS® עלולה לגרום לחזרה של תסמיני PNH בצורה חמורה יותר זמן קצר אחרי הפסקת הטיפול בתרופה ULTOMIRIS®.

### אסור לך להפסיק את הטיפול מבלי להיות נתון למעקב רפואי

אם בכוונתך להפסיק את הטיפול ב- ULTOMIRIS®, 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)

### סימוכין

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.

במקרה של צורך במידע בטיחות נוסף, ניתן ליצור קשר בטל':  
1-800-250-255

ALEXION™

# חברת מידע למטופל



המסמך אושר לאחרונה בפברואר 2020 ע"י משרד הבריאות הישראלי

ALEXION

# מבוא

מדריך זה מיועד לחולים בוגרים הסובלים מהמוגלובינוריה לילית התקפית (PNH). מדריך זה מציג מידע אודות ULTOMIRIS<sup>®</sup>, אודות האופן שבו התרופה תינתן לך, וכן מידע בטיחות חשוב שעליך להיות מודע לו.

## מהי ULTOMIRIS<sup>®</sup>?

ULTOMIRIS<sup>®</sup> היא תרופה הניתנת לחולים בוגרים 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 להחסות תאי דם אדומים (תמס דם), תופעה שיכולה לגרום לספירת דם נמוכה, עייפות, קשיי תפקוד, כאב, שתן כהה, קוצר נשימה וקרישי דם.

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



תמס דם של תאי דם אדומים



תאי דם אדומים בריאים

# מילון מונחים

## זיהום מנינגוקוקי

זיהום הנגרם על ידי החיידק Neisseria meningitidis (נייסריה מנינגיטידיס) המכונה גם מנינגוקוקוס. זיהום זה יכול לגרום לדלקת קרום המוח (מנינגיטיס) או לזיהום ממושט בדם (אלח דם/ספטיס).

## ספטיס / אלח דם

הנוכחות של חיידקים (בקטרמיה), אורגניזמים מזהמים אחרים, או רעלים הנוצרים על ידי אורגניזמים מזהמים בזרם הדם שמתפשטים לכל הגוף.

## 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 שלעיתים 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").

## זיהום גונוקוקאלי

זיהום המועבר מינית ונגרם על ידי החיידק Neisseria gonorrhoeae (נקרא גם ז'יבה). יכול להפיץ ולגרום לזיהום נרחב בדם (אלח דם).

## אנמיה

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

## נוגדי קרישה

נקראים לעיתים גם מדללי דם, נוגדי קרישה הם תרופות שמפחיתות את יכולת הקרישה של הדם 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 חמצן לכל חלקי הגוף. אחראי לצבע הכהה האופייני של השתן אצל חולי PNH.

## המוגלובינוריה

המוגלובין בשתן. זהו המונח הטכני לתיאור שתן כהה "בצבע קולה" שנראה לעיתים 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.

# שאלות נפוצות

## מהם שיקולי הבטיחות בקשר לתרופה ULTOMIRIS®?

### מידע בטיחותי חשוב

מכיוון ש- ULTOMIRIS® 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 שהינם זיהום חריף בקרום המוח או זיהום בדם. **זיהומים אלה מחייבים טיפול דחוף ומתאים, מכיוון שהם עלולים להפוך במהירות לקטלניים 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 חייב/ת להתחסן** נגד זיהום מנינגוקוקי לפני התחלת טיפול ב- ULTOMIRIS®. **את/ה חייב/ת לקבל** אם את/ה התחלת טיפול ב- ULTOMIRIS® פחות משבועיים לאחר קבלת חיסון מנינגוקוקי, את/ה חייב/ת לקבל טיפול אנטיביוטי למשך שבועיים מרגע מתן החיסון על מנת להפחית את הסיכון לזיהום הנגרם ע"י חיידק נייסריה מנינגיטידיס.

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

במקרה שיש לך התוויית-נגד לחיסון או אם אין חיסון זמין עבורך במדינתך, את/ה תקבל/י אנטיביוטיקה במשך כל תקופת הטיפול.

עליך לשאת את כרטיס המידע הבטיחותי אתך כל משך הטיפול ב- ULTOMIRIS®. **וכן שמונה חודשים לאחר הפסקת הטיפול ולהציגו לכל איש מקצוע רפואי הנפגש אתך.**

מהם התסמינים המזהירים שאליהם עלי לשים לב במהלך הטיפול?  
יהיה עליך להכיר את התסמינים והתסמינים של זיהום מנינגוקוקי ולהודיע לרופא שלך באופן מיידי אם מופיע אצלך אפילו אחד מהתסמינים הבאים:

- כאב ראש מלווה בבחילה או הקאה
- כאב ראש מלווה בחום
- כאב ראש מלווה בנוקשות בצוואר או בגב
- חום
- חום ופריחה
- 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.**

## 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 נייסריה מנינגיטידיס
- להבין את התסמינים הקשורים לזיהומים ומה עליך לעשות אם מופיעים אצלך התסמינים האלה
- עמוד למעקב קפדני של הרופא שלך בעקבות כל הפסקת טיפול בתרופה ULTOMIRIS®

הרופא או האחות יודאו שתקבלי את החיסון נגד זיהום מנינגוקוקי לפחות שבועיים לפני מועד העירוי הראשון שלך. אם את/ה מתחילה טיפול ב- ULTOMIRIS® 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 נייסריה מנינגיטידיס

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

## האם ישנם שיקולים נוספים שיש להביא בחשבון בעת נטילת **ULTOMIRIS®**?

**סיכון לזיהום חמור:** בגלל מנגנון הפעולה שלה, מתן התרופה **ULTOMIRIS®** צריך להיעשות בזהירות אצל חולים עם זיהומים מערכתיים פעילים. עליך לעקוב אחר התסמינים שלך ולדווח לרופא שלך על כל שינוי. יתכן שאתה נמצא בסיכון לזיהומים אחרים עם חיידקים הנקראים Neisseria כולל זיהום גונוקוקיאלי מופץ. אם אתה נמצא בסיכון לזיהום, פנה לייעוץ רופא או רוקח לפני שימוש בתרופה זו. קיים גם סיכון פוטנציאלי לזיהומים שאינם ניסריה במהלך הטיפול ב-**ULTOMIRIS®**.

**חריגות המטולוגיות וממאיריות:** כחולה ב-PNH, תעבור מעקב אחר שינויים המטולוגיים. ניטור המעבדה עשוי להזהיר את הרופא שלך על חריגות המטולוגיות וממאירות. ניטור המעבדה נמשך במהלך הטיפול ב-**ULTOMIRIS®** ובמשך תקופה של לא פחות מ-16 שבועות לאחר הפסקת ב-**ULTOMIRIS®**.

**תגובות חיסוניות ורגישות יתר תרופתית:** התרופה **ULTOMIRIS®** מכילה חלבון וחלבונים יכולים לגרום לתגובות אלרגיות אצל אנשים מסוימים. אם מופיעים אצלך סימנים או תסמינים כלשהם אחרי קבלת התרופה **ULTOMIRIS®**, עליך להתייעץ עם איש המקצוע הרפואי המטפל בך.

**הריון:** התרופה **ULTOMIRIS®** אינה מומלצת לשימוש בזמן הריון. עדכני את הרופא שלך טרם התחלת הטיפול ב-**ULTOMIRIS®** אם את בהריון או מתכוונת להיכנס להריון. על נשים פוריות להשתמש באמצעי מניעה מתאימים במהלך הטיפול ועד שמונה חודשים לאחר סיום הטיפול.

גברים המטופלים ב-**ULTOMIRIS®** אינם יכולים ליכול לעבר או לתרום זרע עד שמונה חודשים לאחר סיום הטיפול.

**הנקה:** התרופה **ULTOMIRIS®** עשויה לעבור מחלב האם שלך לתינוקך. לכן, אין להניק בזמן טיפול ב-**ULTOMIRIS®** ועד שמונה חודשים לאחר סיום הטיפול.

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

**תופעות לוואי בלתי-רצויות:** בדרך כלל ישנה סבילות טובה לתרופה **ULTOMIRIS®**. תופעות הלוואי השכיחות ביותר שעליהן דווח היו זיהום בדרכי הנשימה העליונות, הצטננות, כאב ראש, ותופעת הלוואי החמורה ביותר היא זיהום מנינגוקוקלי (כלומר, זיהום על ידי ניסריה מנינגיטידיס). רוב כאבי הראש היו מתונים וחלפו לאחר שלב המתן ההתחלתי של התרופה **ULTOMIRIS®**.

### איך מתחילים בטיפול ב-**ULTOMIRIS®**?

התרופה **ULTOMIRIS®** ניתנת אך ורק על פי מרשם רופא.

יתנתן לך גם ערכת-התחלה שמכילה:

- כרטיס בטיחות לחולה:** ישנה חשיבות רבה לזיהוי ולטיפול מהירים בסוגים מסוימים של זיהום אצל חולים שמקבלים **ULTOMIRIS®**; לכן, ייתכן לך כרטיס בטיחות שמפרט תסמינים ספציפיים שאליהם עליך לשים לב תמיד. עליך לשאת אתך את הכרטיס הזה בכל משך זמן הטיפול ובמשך שמונה חודשים לאחר קבלת הטיפול האחרון ב-**Ultomiris®**. ולהציג אותו לכל איש מקצוע רפואי הנפגש אתך.
- חוברת מידע לחולה**

הרופא/ה שלך יציע לך להשתתף במאגר רישום PNH, ואתה/ת רשם/מי בהתאם להסכמתך

### מהו אופן המתן של התרופה **ULTOMIRIS®**?

התרופה **ULTOMIRIS®** ניתנת באמצעות עירוי תוך-ורידי (החדרת תמיסה לתוך הוריד). משך העירוי משתנה בהתאם למינון. 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 **ULTOMIRIS®** 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 **ULTOMIRIS®** נעשה שימוש?

### עבור מבוגרים:

משטר המינון המומלץ למטופלים מבוגרים עם PNH מורכב ממנת העמסה ולאחריה מינון אחזקתי אשר ניתן באמצעות עירוי תוך ורידי. המינון שיינתן מבוסס על משקל הגוף של המטופל, כפי המוצג בטבלה 1, ולמינימום עירוניים כפי המוצג בטבלה 2.

מינון אחזקתי ניתן פעם בשמונה שבועות, אשר מתחיל שבועיים לאחר שניתנה מנת ההעמסה

### טבלה 1: מינון מבוסס משקל

משקל גוף (ק"ג)	מינון העמסה (מ"ג)	מינון אחזקתי (מ"ג)
≥ 40 עד < 60	2400	3000
≥ 60 עד < 100	2700	3300
≥ 100	3000	3600

### טבלה 2: טבלת ייחוס מתן מינון

משקל גוף (ק"ג)	מינון <b>ULTOMIRIS®</b> (מ"ג)	סה"כ נפח (מ"ל)	משך זמן עירוי מינימלי (דקות (שעות))	מנת העמסה
≤ 40 עד > 60	2400	480	114 (1.9)	מנת העמסה
≤ 60 עד > 100	2700	540	102 (1.7)	
≤ 100	3000	600	108 (1.8)	
≤ 40 עד > 60	3000	600	140 (2.4)	מנה אחזקתית
≤ 60 עד > 100	3300	660	120 (2.0)	
≤ 100	3600	720	132 (2.2)	

חשוב מאוד לוודא שלא תחמיץ או תידחה אף פגישת טיפול מתוכננת על מנת להמשיך לשלוט בתמונת הדם ולהפיק את מרב התועלת מהטיפול ב-**ULTOMIRIS®**.

## 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](http://www.health.gov.il)), ע"י כניסה לפורטל, או באמצעות הקישור הבא: <https://sideeffects.health.gov.il/> ובאמצעות מייל ליחידה לבטיחות מטופלים של בעל הרישום: [drugsafety@neopharmgroup.com](mailto:drugsafety@neopharmgroup.com) טל: 1-800-250-255

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