

Tärkeitä turvallisuustietoja potilaille/vanhemmille Soliris[®]-hoidosta

TERMIEN SELITYKSET

Anemia

Tila, jossa kehossa on liian vähän punasoluja ja josta voi seurata väsymystä ja muita oireita.

Antikoagulantit

Antikoagulantit eli verenohennuslääkkeet ovat lääkkeitä, jotka vähentävät veren hyytymiskykyä ja ehkäisevät näin verihyytymiä.

Atyyppinen hemolyttisüreeminen oireyhtymä (aHUS)

Harvinainen sairaus, jonka aiheuttaa normaaliin immuunijärjestelmään kuuluvan komplementtijärjestelmän krooninen ja liiallinen aktiivisuus. Yliaktiivinen komplementtijärjestelmä vahingoittaa pieniä verisuonia ja aiheuttaa verihyytymiä eri puolilla kehoa. Tätä prosessia kutsutaan tromboottiseksi mikroangiopatiaksi (TMA). TMA voi vaurioittaa monia elimiä, kuten aivoja, munuaisia ja sydäntä.

Gonokokki-infektio

Sukupuoliteitse tarttuva infektio (tippuri), jonka aiheuttaa *Neisseria gonorrhoeae* -bakteeri. Voi levitä ja aiheuttaa laaja-alaisen verenmyrkytyksen (sepsiksen).

Hemoglobiini

Punasolujen sisältämä punaruskea aine, joka kuljettaa happea kaikkialle kehoon. Aiheuttaa luonteenomaisen virtsan tummuuden PNH:ssa.

Hemoglobinuria

Hemoglobiinivirtsaisuus Tämä on tekninen termi tummalle, ”kolanväriselle” virtsalle, jota esiintyy joskus PNH:ssa. Kun punasolut hajoavat tai tuhoutuvat, kuten PNH:ssa tapahtuu, hemoglobiini vapautuu punasoluista. Kun keho ei pysty käsittelemään sitä kokonaan, se poistuu kuona-aineena ja värjää virtsan tummaksi.

Kohtauksittainen yöllinen hemoglobinuria (paroksysmaalinen nokturnaalinen hemoglobinuria, PNH)

Harvinainen veritauti, jossa komplementtijärjestelmä tuhoaa tai hemolysoi punasoluja kroonisesti. Tämä voi aiheuttaa vakavia ongelmia, kuten anemiaa, väsymystä ja verisuonitukoksia.

Komplementtijärjestelmä (tunnetaan myös nimellä komplementtikaskadi tai pelkkä komplementti)

Immuunijärjestelmän osa, joka tuhoaa bakteereja ja muita vieraita soluja.

Krooninen hemolyysi

Punasolujen tuhoutuminen (hemolyysi), joka on pitkäkestoista (kroonista).

Meningokokki-infektio

Neisseria meningitidis -bakteerin (meningokokki) aiheuttama infektio. Se voi aiheuttaa meningiitin tai laajan veri-infektion (sepsis).

Munuaisten vajaatoiminta tai toimintahäiriö

Tila, jossa munuaiset eivät enää toimi eivätkä pysty poistamaan kuona-aineita tai säätelemään veden ja elintärkeiden aineiden määrää kehossa.

Neuromyelitis optica -kirjon häiriö (NMOSD)

NMOSD on erittäin harvinainen toiminnanvajausta aiheuttava neurologinen sairaus, jossa elimistön immuunijärjestelmä hyökkää näköhermoon, selkäyttimeen ja harvinaisissa tapauksissa jopa aivoihin. Seurauksena voi olla yhden tai kahden silmän sokeutuminen, käsien tai jalkojen lihaskouristuksia, tunnottomuutta ja huomattavia vaikutuksia päivittäiseen elämään.

Punasolut

Verisolut, jotka kuljettavat happea hyödyntämällä hemoglobiini-nimistä proteiini-kompleksia. PNH:ssa komplementtijärjestelmä hyökkää jatkuvasti punasoluja vastaan ja tuhoaa niitä, koska niissä ei ole tärkeitä suoja-proteiineja.

Refraktorinen yleistynyt myasthenia gravis (gMG)

Myasthenia gravis (MG) on harvinainen, yleiskuntoa heikentävä neurologinen sairaus, jossa kehon immuunijärjestelmä aloittaa hermo-lihasliitokseen kohdistuvan hyökkäyksen. Tämä hyökkäys aiheuttaa kudonvaurioita ja häiritsee neuromusku-laarista transmissiota, mikä voi ilmetä potilailla yleiskuntoa heikentävänä voimat-tomuutena ja/tai uupumuksena.

Tromboottinen mikroangiopatia (TMA)

aHUS:iin liittyvä prosessi, jossa pienet verisuonet tuhoutuvat ja näihin vaurioituneisiin verisuoniin muodostuu verihyytymiä. TMA:n aiheuttaa komplementtijärjestelmän krooninen yliaktiivisuus, ja se on syynä aHUS-potilaiden vaurioihin ja sairaustilaan.

Verihyytymät

Kun paljon verihyutaleita tarttuu yhteen, muodostuu verihyytymä. Nämä hyytymät voivat koon ja sijainnin mukaan estää laskimoiden ja valtimoiden verenkierron (katso Verisuonitukos).

Verisuonitukos (tromboottiset tapahtumat)

Verihyytymä, joka usein estää veren virtauksen verisuonessa.

JOHDANTO

Tämä opas on tarkoitettu potilaille, joilla on jokin seuraavista sairauksista:

- Paroksysmaalinen nokturnaalinen hemoglobi-nuria (PNH)
- Atyyppinen hemolyttis-ureeminen oireyhtymä (aHUS)
- Refraktorinen yleistynyt myasthenia gravis (gMG)
- Neuromyelitis optica -kirjon häiriö (NMOSD)

Opas sisältää tietoa Solirisista ja sen antamisesta sekä tärkeitä turvallisuustietoja, jotka on huomioitava. Saatavana on myös opas vanhemmille, joiden pienillä lapsilla on PNH aHUS. Sen voi pyytää lääkäriltä.

MIKÄ SOLIRIS ON?

Soliris sisältää vaikuttavana aineena ekulitsumabia ja kuuluu ryhmään lähteessä, joka tunnetaan nimellä monoklonaaliset vasta-aineet.

Soliris on vasta-aine, joka sitoutuu elimistön tiettyyn tulehdusta aiheuttavaan proteiiniin ja estää sen toimintaa. Elimistön immuunijärjestelmä ei silloin hyökkää elimistöä vastaan ja aiheuta vaurioita pienille verisuonille, tietyille verisoluille, munuaisille, lihaksille, näköhermoille ja selkäytimelle^{1,2}. Koska PNH, aHUS, refraktorinen gMG ja NMOSD ovat kroonisia sairauksia, Soliris on tarkoitettu pitkäaikaiseen käyttöön.

USEIN KYSYTYT KYSYMYKSET

Mitä turvallisuusnäkökohtia Solirisiin liittyy?

TÄRKEITÄ TURVALLISUUSTIETOJA¹

Koska Soliris estää osaa immuunijärjestelmästäsi toimimasta, se lisää vakavan infektion ja sepsiksien riskiä. Infektion aiheuttajana voi olla erityisesti *Neisseria meningitidis* -niminen bakteeri. Tämä voi aiheuttaa meningokokki-infektioita (vaikeita aivokalvotulehduksia ja/tai verenmyrkytyksiä) ja muita *Neisseria*-bakteerien aiheuttamia infektioita kuten levinnyttä tippuria.

Nämä infektiot edellyttävät kiireellistä ja asianmukaista hoitoa, sillä ne voivat muuttua nopeasti hengenvaaralliseksi, johtaa kuolemaan tai aiheuttaa merkittäviä vammoja.

On tärkeää ymmärtää varotoimet näiden infektioiden riskin pienentämiseksi sekä se, mitä tehdä, jos epäilet saaneesi infektion (katso alla).

Varotoimet:

SINUT/LAPSESI ON ROKOTETTAVA meningokokki-infektiota vastaan viimeistään 2 viikkoa ennen Soliris-hoidon aloittamista. Jos aloitat / lapsesi aloittaa Soliris-hoidon, ennen kuin meningokokkirokotuksesta on kulunut 2 viikkoa, *Neisseria meningitidis* -infektioriskin pienentämiseksi annetaan antibioottihoitoa, kunnes rokotuksesta on kulunut 2 viikkoa.

Lääkäri tai sairaanhoitaja varmistaa, että saat tämän rokotteen viimeistään 2 viikkoa ennen ensimmäistä infuusiota.

Jos pienelle lapselle ei ole saatavilla rokotetta tai rokote on vasta-aineinen, sinulle tai lapsellesi voidaan antaa antibioottia koko hoitojakson ajan tai 2 viikon ajan rokotuksen jälkeen.

Alle 18-vuotiaiden lasten ja nuorten on saatava *Haemophilus influenza*- ja pneumokokki-rokote viimeistään 2 viikkoa ennen Soliris-hoidon aloittamista kansallisten rokotusmääräysten ja kutakin ikäryhmää koskevien kansallisten rokotussuosittelujen mukaisesti.

Mihin oireisiin on suhtauduttava vakavasti hoidon aikana?¹

Rokotus pienentää infektion kehittymisriskiä, mutta se ei poista riskiä kokonaan.

Sinun on tiedettävä infektion merkit ja oireet ja ilmoitettava lääkärille välittömästi, jos YKSIKIN seuraavista oireista ilmenee:

- päänsärky, johon liittyy pahoinvointia tai oksentelua
- päänsärky, johon liittyy niskan tai selän jäykkyyttä
- kuume
- ihottuma
- sekavuus
- vaikea lihassärky ja flunssankaltaiset oireet
- valonarkuus

Jos et tavoita lääkäriäsi, hakeudu ensiapuun ja näytä turvallisuustietoa sisältävä potilaskorttisi.



Vastasyntyneiden ja vauvojen vanhempien/hoitajien on tiedostettava, että tyypillisten oireiden, kuten päänsärlyn, kuumeen ja niskan jäykkyyden, tunnistaminen voi olla vaikeaa, joten huomiota on kiinnitettävä myös muihin vauvoilla esiintyviin oireisiin, kuten passiivisuuteen, ärtyvyyteen, oksenteluun ja ruokahaluttomuuteen.

Onko minun tehtävä jotakin ennen hoidon aloittamista?¹

Ennen hoidon aloittamista lääkäri keskustelelee kanssasi seuraavista tärkeistä asioista:

- Meningokokkirokote (*Neisseria meningitidis*) ja/tai infektioriskin pienentäminen antibioottihoidolla.
- Infektioihin liittyvien oireiden ymmärtäminen ja tarvittavat toimenpiteet, jos huomaat näitä oireita.
- Jos hoidettavana on lapsesi, tämä saa *Haemophilus influenza-* ja pneumokokkirokotteen viimeistään 2 viikkoa ennen Soliris-hoidon aloittamista kansallisten rokotusmääräysten mukaisesti.
- Huolellinen lääkärin seuranta Soliris-hoidon mahdollisen keskeyttämisen jälkeen.

Lääkäri tai sairaanhoitaja varmistaa, että saat meningokokkirokotteen viimeistään 2 viikkoa ennen ensimmäistä infuusiota.

Lisäksi sinua seurataan hoidon aikana tarkkaan meningokokki-infektion ja muiden infektioiden varalta.

Miten pääsen alkuun Soliris-hoidossa?

Soliris-hoito edellyttää lääkärin määräystä.

Saat myös aloituspaketin, joka sisältää seuraavat:

- **Potilaan tietokortti sisältäen tietoja turvallisuudesta:** Tietyntyypiset infektiot on hyvin tärkeää tunnistaa ja hoitaa nopeasti Soliris-hoitoa saavilla potilailla. Siksi saat turvallisuustietoa sisältävän potilaskortin, jossa luetellaan erityiset oireet, joita on aina tarkkailtava. Sinun on pidettävä tämä kortti aina mukanas ja näytettävä se kaikille sinua hoitaville terveydenhuollon ammattilaisille.
- **Potilaan/vanhempien PNH-opas.**
- **Vanhempien PNH-opas annetaan pienten lasten vanhemmille/hoitajille.**
- Jos sinulla tai lapsellasi on PNH tai aHUS: Lääkäri tarjoaa sinulle/lapsellesi mahdollisuuden osallistua **PNH-rekisteriin** tai **aHUS-rekisteriin**. Lääkäri voi rekisteröidä sinut/lapsesi tähän rekisteriin.

Kuten kaikki laskimonsisäisenä infuusiona annettavat lääkkeet, Soliris voi aiheuttaa välittömän tai viivästyneen reaktion. Kerro lääkärille, jos näin tapahtuu.

Infuusion liittyvän reaktion riskin (mukaan lukien allerginen reaktio) vuoksi sinua seurataan noin tunnin ajan kunkin infuusion jälkeen. Noudata tarkasti lääkärin antamia ohjeita.

Miten pitkään minun on otettava Solirisia?¹

Koska **PNH, aHUS, refraktorinen gMG ja NMOSD** ovat kroonisia sairauksia, Soliris on tarkoitettu **jatkuvaiksi hoidoksi**.⁶

Sinun on jatkettava lääkitystä, vaikka olosi paranisi.

Soliris-hoidon keskeyttäminen tai lopettaminen voi johtaa nopeasti sairauden oireiden palaamiseen aiempaa pahempina.

Et saa lopettaa hoitoa ilman lääkärin valvontaa.

Jos haluat keskeyttää tai lykätä Soliris-hoitoasi, keskustele ensin lääkärisi kanssa mahdollisista sivuvaikutuksista ja riskeistä, joita tämä voi aiheuttaa.

Jos sinulla on PNH ja lopetat Soliris-valmisteen käytön

Soliris-hoidon keskeyttäminen tai lopettaminen voi johtaa nopeasti PNH-oireiden palaamiseen. Lääkäri keskustele kanssasi mahdollisista haittavaikutuksista ja Soliris-valmisteen käytön lopettamiseen liittyvistä riskeistä. Lääkäri seuraa sinua huolellisesti 8 viikon ajan hoidon keskeyttämisestä.

Soliris-hoidon keskeyttämiseen liittyy muun muassa punasolujen kiihtyneen hajoamisen (hemolyysin) riski. Se voi aiheuttaa:

- punasolujen merkittävää vähenemistä (anemiaa)
- sekavuutta tai hajamielisyyttä
- rintakipua tai angina pectoris kipua
- munuaisongelmia (seerumin kreatiniinipitoisuuden nousu) tai
- veritulppia (tromboosi).

Ota yhteyttä lääkäriin, jos havaitset näitä oireita.

Jos sinulla on aHUS ja lopetat Soliris-valmisteen käytön

Soliris-hoidon keskeyttäminen tai lopettaminen voi johtaa nopeasti aHUS-oireiden palaamiseen. Lääkäri keskustelee kanssasi mahdollisista haittavaikutuksista ja Soliris-valmisteen käytön lopettamiseen liittyvistä riskeistä. Lääkäri seuraa sinua huolellisesti 8 viikon ajan hoidon keskeyttämisestä.

Soliris-hoidon keskeyttämiseen liittyy muun muassa pienten verisuonten vaurioitumisen ja tromboottisen mikroangiopatian (TMA). Se voi aiheuttaa

- verihiutaleiden merkittävää vähenemistä (trombosytopenia)
- punasolujen hajoamisen merkittävää lisääntymistä
- virtsamäärän vähenemistä (munuaisongelma)
- seerumin kreatiniinitason nousua (munuaisongelma)
- sekavuutta tai hajamielisyyttä
- rintakipua tai angina pectoris kipua
- hengästymistä
- veritulppia (tromboosi).

Ota yhteyttä lääkäriin, jos havaitset näitä oireita.

Jos sinulla on refraktorinen gMG ja lopetat Soliris-valmisteen käytön

Soliris-hoidon keskeyttäminen tai lopettaminen voi johtaa nopeasti refraktorisen gMG:n oireiden palaamiseen aiempaa pahempina. Keskustele lääkärin kanssa, jos suunnittelet hoidon lopettamista. Lääkäri keskustelee kanssasi mahdollisista haittavaikutuksista ja Soliris-valmisteen käytön lopettamiseen liittyvistä riskeistä. Lääkäri seuraa sinua huolellisesti hoidon keskeyttämisen jälkeen.

Liitryk6 Soliris-hoitoon muita huomioon otettavia tekij6it6?¹

Infektioriski

Solirisin antamisessa tulee sen vaikutusmekanismin vuoksi noudattaa varovaisuutta systeemisi6 infektiota sairastavilla potilailla.

My6s muita *Neisseria*-bakteerien aiheuttamia infektiota, esimerkiksi levinneit6 gonokokki-infektiota, voi esiinty6. Jos sinulla on tippurin riski, kysy l66k6rilt6 tai apteekista neuvoa ennen t6m6n l66kkeen k6ytt66.

Allergiset reaktiot

Soliris sis6lt66 proteiinia, ja proteiinit voivat aiheuttaa joillekin allergisia reaktioita. Jos huomaat merkkej6 tai oireita, kun olet saanut Solirisia, ota yhteytt6 l66k6riin.

Haittavaikutuksista ilmoittaminen

Jos havaitset haittavaikutuksia, kerro niistä lääkärille, apteekkihenkilökunnalle tai sairaanhoitajalle. Tämä koskee myös sellaisia mahdollisia haittavaikutuksia, joita ei ole mainittu tässä pakkausselosteessa. Voit ilmoittaa haittavaikutuksista myös suoraan (ks. yhteystiedot alla). Ilmoittamalla haittavaikutuksista voit auttaa saamaan enemmän tietoa tämän lääkevalmisteen turvallisuudesta.

www-sivusto: www.fimea.fi

Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea
Lääkkeiden haittavaikutusrekisteri
PL 55
00034 FIMEA

Toimitetaan Alexionin tarjoamana potilaskoulutuspalveluna.

Lisätietoja Soliris-valmisteesta ja PNH:sta, aHUS:sta, refraktorisesta gMG:stä ja NMOSD:sta: Soliris-valmisteen (ekulitsumabi) pakkausseloste. Alexion Europe SAS.

Viitteet:

1. Soliris (ekulitsumabi) -pakkausseloste.
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.

The logo for Alexion, featuring the word "ALEXION" in a bold, blue, sans-serif font. A stylized blue and red graphic element resembling a curved line or a drop is positioned above the letter "X".The logo for Soliris, featuring the word "SOLIRIS" in a bold, blue, sans-serif font with a registered trademark symbol. Below it, the word "(e c u l i z u m a b)" is written in a smaller, blue, sans-serif font. A curved orange and blue graphic element is positioned above the word "SOLIRIS".

Soliris® on Alexion Pharmaceuticals, Inc.:n tavaramerkki.
Copyright © 2018, Alexion Pharmaceuticals, Inc.
Kaikki oikeudet pidätetään.