

ULTOMIRIS® ▼ (ravulizumab)

Paroxysmal nattlig hemoglobinuri (PNH)

och

Atypiskt hemolytiskt uremiskt syndrom (aHUS)

Patientguide

- ▼ Detta läkemedel är föremål för utökad övervakning. Detta kommer att göra det möjligt att snabbt identifiera ny säkerhetsinformation. Du kan hjälpa till genom att rapportera de biverkningar du eventuellt får. Information om hur du rapporterar biverkningar finns i slutet av avsnitt 4 i bipacksedeln.

Inledning

Denna guide är avsedd för barn och vuxna patienter diagnostiserade med paroxysmal nattlig hemoglobinuri (PNH) eller atypiskt hemolytiskt uremiskt syndrom (aHUS) samt för föräldrar/vårdnadshavare till barn med PNH eller aHUS. Denna guide ger dig viktig säkerhetsinformation om Ultomiris som du måste känna till.

Det finns även en annan guide som är avsedd för föräldrar/vårdnadshavare till barn med PNH eller aHUS. Läkaren kan ge dig den guiden.

Anemi

Ett tillstånd vid vilket kroppen inte har tillräckligt med röda blodkroppar; detta kan leda till utmattning och andra symtom.

Antikoagulantia

Antikoagulantia, som ibland kallas för blodförtunnande medel, är läkemedel som minskar blodets förmåga att bilda blodproppar.

Aplastisk anemi

En typ av anemi som beror på att kroppen inte producerar tillräckligt många blodkroppar.

Atypiskt hemolytiskt uremiskt syndrom (aHUS)

En sällsynt sjukdom som orsakas av kontinuerlig och kraftig aktivering av komplementsystemet, vilket är en del av ditt normala immunsystem. Det överaktiva komplementsystemet skadar små blodkärl och orsakar trombotisk mikroangiopati (TMA), vilket kan leda till skador på många olika organ, som hjärnan, njurarna och hjärtat.

Blodproppar

När många blodplättar klibbar ihop bildas en blodpropp. Dessa proppar kan blockera blodflödet i vener och artärer, beroende på hur stora de är och var de sitter (se "Trombos").

Gonokockinfektion

Sexuellt överförbar infektion som orsakas av bakterien *Neisseria gonorrhoeae* (även kallad gonorré). Kan sprida sig och orsaka blodförgiftning (sepsis).

Hemoglobin

Det brunröda ämnet i röda blodkroppar som transporterar runt syre i kroppen.

Ordlista

Hemoglobinuri

Hemoglobin i urinen. Detta är den medicinska termen på den mörka "Coca-Cola-färgade" urinen som ibland förekommer vid PNH. När de röda blodkropparna bryts sönder (lyserar), så som sker vid PNH, frisätts hemoglobin. När allt detta hemoglobin inte kan tas om hand av kroppen, utsöndras det som restprodukt i urinen som då får den karaktäristiskt bruna färgen.

Komplementsystemet (kallas också komplementkaskaden eller bara komplement)

Del av immunsystemet som i normala fall förstör bakterier och andra främmande celler. Vid PNH orsakar komplementsystemet nedbrytning av de röda blodkroppar som saknar särskilda skyddsproteiner. Vid aHUS är komplementsystemet kroniskt och kraftigt aktiverat. Detta orsakar skador på kroppen genom att små blodkärl förstörs och att blodproppar bildas. Detta kan ge skador på organ så som hjärna, njurar och hjärta.

Kronisk hemolys

Nedbrytning av röda blodkroppar (hemolys) under en lång tidsperiod (kronisk).

Meningokockinfektion

En infektion som orsakas av bakterien *Neisseria meningitidis* (kallas också meningococcus). Den kan orsaka hjärnhinneinflammation eller utbredd blodinfektion (blodförgiftning eller sepsis).

Myelodysplastiskt syndrom

En grupp benmärgssjukdomar där benmärgen inte producerar tillräckligt många friska blodkroppar.

Nedsatt njurfunktion eller njursvikt

Ett tillstånd där njurarna slutar fungera och inte kan avlägsna restprodukter eller reglera mängden vatten och nödvändiga ämnen i kroppen.

Paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH)

En sällsynt blodsjukdom vid vilken röda blodkroppar kontinuerligt förstörs (hemolys) av komplementsystemet. Detta kan leda till svåra problem, däribland anemi, trötthet och trombos.

Röda blodkroppar

Blodkroppar som transporterar syre med hjälp av ett proteinkomplex som kallas hemoglobin. Vid PNH, attackerar röda blodkroppar kontinuerligt och förstörs av komplementsystemet eftersom de saknar viktiga skyddsproteiner. Vid aHUS förstörs de röda blodkropparna när de passerar genom blockerade och skadade små blodkärl.

Sepsis

Bakterier, andra infektiösa organismer eller toxiner som bildats av smittsamma organismer och som sprider sig via blodet i hela kroppen.

Trombos (trombotiska händelser)

Bildningen eller utvecklingen av en blodpropp som ofta blockerar blodflödet genom ett blodkärl. Vid PNH kan blodproppar bildas på vanliga ställen, men de kan också förekomma på ovanliga ställen, som i blodkärl i buken. Vid aHUS kan blodproppar uppstå i små blodkärl, vanligtvis i hjärnan, njurarna, hjärtat eller andra organ (se Blodproppar).

Trombotisk mikroangiopati (TMA)

TMA är ett tillstånd som orsakar små blodproppar i de små blodkärlen. Detta visar sig genom skador på njurarna, lågt antal blodplättar och att de röda blodkropparna förstörs. Detta upptäcks genom tester utförda av din läkare. TMA uppstår, bland annat, hos patienter med aHUS.

Vanliga frågor

VILKA SÄKERHETSASPEKTER RUNT ULTOMIRIS ÄR VIKTIGA ATT KÄNNA TILL?

VIKTIG SÄKERHETSINFORMATION

Risk för meningokockinfektion

Eftersom Ultomiris blockerar en del av immunsystemet ökar det risken för svåra infektioner och/eller blodförgiftning, särskilt sådana som orsakas av en typ av bakterier som heter *Neisseria meningitidis*. En sådan infektion kan orsaka hjärnhinneinflammation (meningit) eller en svår infektion i blodet (sepsis).

Dessa infektioner kräver omedelbar och korrekt behandling, eftersom de snabbt kan bli dödliga eller livshotande eller leda till kraftiga funktionsnedsättningar.

Det är viktigt att du förstår vilka försiktighetsåtgärder du ska vidta för att minska risken för dessa infektioner och vad du ska göra om du är orolig för att du kan ha en infektion (se nedan).

SÄKERHETSÅTGÄRDER:

DU/DITT BARN MÅSTE VACCINERAS mot meningokockinfektion innan behandling med Ultomiris påbörjas. Om behandlingen med Ultomiris påbörjas mindre än 2 veckor efter att du/ditt barn har vaccinerats mot meningokockinfektion måste du/ditt barn behandlas med antibiotika fram till och med 2 veckor efter vaccinationen för att minska risken för att drabbas av en infektion med *Neisseria meningitidis*.

Vaccinering minskar risken för att drabbas av en meningokockinfektion, men den undanröjer inte risken helt och hållet.

Om vaccinet är kontraindicerat eller om det inte finns något vaccin tillgängligt kommer du/ditt barn att behandlas med antibiotika under hela behandlingsperioden eller fram till två veckor efter att vaccinet har getts.

Barn och ungdomar yngre än 18 år måste även vaccineras mot *Haemophilus influenza* och pneumokockinfektioner minst 2 veckor innan behandlingen med Ultomiris påbörjas, i enlighet med de nationella vaccinationsrekommendationerna för varje åldersgrupp.

DU SKA ALLTID BÄRA MED DIG DITT PATIENTKORT UNDER TIDEN DU BEHANDLAS MED ULTOMIRIS SAMT 8 MÅNADER EFTER AVSLUTAD BEHANDLING, OCH VISA DET FÖR ALL HÄLSO- OCH SJUKVÅRDPERSONAL SOM DU TRÄFFAR.

VILKA SYMPTOM SKA JAG VARA UPPMÄRKSAM PÅ UNDER BEHANDLINGEN?

Du måste vara uppmärksam på tecken och symtom på en meningokockinfektion och omedelbart kontakta läkare om du får något av följande symtom:



Huvudvärk med illamående eller kräkningar



Feber och utslag



Huvudvärk med feber



Förvirring



Huvudvärk med stel nacke eller rygg



Muskelvärk kombinerat med influensaliknande symtom



Feber



Ljuskänsliga ögon



För föräldrar / vårdnadshavare till nyfödda och spädbarn, observera att de typiska symtomen på huvudvärk, feber och stel nacke kan vara svåra att upptäcka. Andra symtom som man därför ska vara observant på hos bebisar är inaktivitet, irritabilitet, kräkningar och minskad aptit.

Se Föräldraguiden för ytterligare information om tecken och symtom på meningokockinfektion hos spädbarn och barn.

**OM DU INTE FÅR
KONTAKT MED DIN EGEN
LÄKARE SKA DU UPPSÖKA
EN AKUTMOTTAGNING
OCH VISA DEM DITT
PATIENTKORT.**



FINNS DET NÅGOT JAG SKA GÖRA INNAN JAG BÖRJAR BEHANDLINGEN?

Innan du påbörjar din behandling kommer din läkare att diskutera med dig hur viktigt det är att du:

- Vaccineras mot meningokockinfektion och, i vissa fall, få antibiotika för att minska risken för att drabbas av en infektion av bakterien *Neisseria meningitidis*.
- Barn: Får andra vaccinationer så som mot *Haemophilus influenza* och pneumokockinfektioner.

Läkaren eller sjuksköterskan kommer att se till att du vaccineras mot meningokockinfektion minst 2 veckor innan du får din första infusion. Om du börjar behandlingen med Ultomiris mindre än 2 veckor efter att du har vaccinerats mot meningokockinfektion kommer läkaren eller sjuksköterskan att se till att du får antibiotika fram till och med 2 veckor efter vaccinationen för att minska risken för att drabbas av en infektion med *Neisseria meningitidis*.

- Känner till symtomen på infektioner, som listas på ditt patientkort, och vad du ska göra om du drabbas av sådana symtom.
- Noggrant övervakas av din läkare efter en eventuell avbruten Ultomiris-behandling.

Under behandlingen kommer du att övervakas noga för meningokockinfektioner och andra infektioner.

FINNS DET NÅGOT ANNAT JAG BÖR TÄNKA PÅ NÄR JAG FÅR ULTOMIRIS?

Allvarliga infektioner: På grund av dess verkningsmekanism bör Ultomiris ges med försiktighet till patienter med en pågående systemisk infektion. Du måste vara uppmärksam på dina symtom och berätta för läkaren om det sker någon förändring. Det finns även risk att du drabbas av andra infektioner orsakade av bakterier kallade *Neisseria gonorrhoeae*, inklusive spridd gonokockinfektion. Din läkare kommer ge dig råd om hur du kan förebygga gonorré när du använder detta läkemedel.

Infusionsreaktioner/allergiska reaktioner: Ultomiris innehåller ett protein och proteiner kan, hos vissa människor orsaka infusions- eller allergiska reaktioner (inklusive allergisk chock). Om du drabbas av några tecken eller symtom efter att ha fått Ultomiris ska du kontakta läkare.

Hematologiska sjukdomstillstånd och maligniteter: Som en följd av sjukdomen finns det en risk att PNH-patienter utvecklar aplastisk anemi eller myelodysplastiskt syndrom. För tillfället är det osäkert om Ultomiris kan öka risken för att utveckla sådana hematologiska sjukdomstillstånd och maligniteter. Du bör därför övervaka dina symtom och rapportera eventuella förändringar till din läkare.

Graviditet: Ultomiris rekommenderas inte under graviditet. Berätta för din läkare om du är gravid eller planerar att bli gravid innan Ultomiris-behandling påbörjas. Fertila kvinnor ska använda en effektiv preventivmetod under behandling och i upp till 8 månader efter avslutad behandling.

Manliga patienter som behandlas med Ultomiris ska inte göra en kvinna gravid eller donera spermier i upp till 8 månader efter behandling.

Amning: Ultomiris kan passera över i bröstmjölk. Amma inte under Ultomiris-behandling och i upp till 8 månader efter avslutad behandling.

HUR BÖRJAR JAG MED ULTOMIRIS-BEHANDLINGEN?

Ultomiris måste förskrivas av en läkare. Du kommer också få ett startkit som innehåller:

- **Patientkort:** Det är mycket viktigt att man snabbt kan identifiera och behandla vissa typer av infektioner hos patienter som får Ultomiris. Du kommer därför få ett patientkort som beskriver särskilda symtom som du alltid ska vara uppmärksam på. Du ska alltid bära med dig detta kort under tiden du behandlas med Ultomiris och i 8 månader efter avslutad behandling, visa det för all hälso- och sjukvårdspersonal som du träffar.
- **Patientguide**
- **Föräldraguide** (ges till föräldrar/vårdnadshavare till barn som behandlas med Ultomiris)
- **Ultomiris bipacksedel**

HUR GES ULTOMIRIS?

Ultomiris ges genom en **intravenös infusion**.

Liksom alla läkemedel som ges genom en intravenös infusion kan Ultomiris orsaka en omedelbar eller fördröjd reaktion. Kontakta din läkare om du får några symtom.

Då det finns en risk för en infusionsreaktion (däribland en allergisk reaktion) kommer du att övervakas i omkring en timme efter varje infusion. Följ noga de anvisningar du får av läkaren.



HUR LÄNGE KOMMER JAG ATT FÅ ULTOMIRIS?

Eftersom **PNH** och **aHUS** är **kroniska sjukdomar** är Ultomiris avsedd som en **kontinuerlig behandling**. Patienter som påbörjar behandling med Ultomiris ska fortsätta att ta Ultomiris även om de känner sig bättre.

Att avbryta eller avsluta behandlingen med Ultomiris kan leda till att dina symtom återkommer.

DU FÅR INTE SLUTA MED BEHANDLINGEN UTAN ATT ÖVERVAKAS AV LÄKARE

Risk för allvarlig hemolys vid avbrytande av behandling, hos patienter med PNH

- Att avbryta eller avsluta behandlingen med Ultomiris kan leda till att dina PNH-symtom återkommer kraftigare efter det att du slutat med Ultomiris-behandlingen. Din läkare kommer noga att övervaka tecken och symtom på allvarlig hemolys.

Risk att symtom kommer tillbaka vid avbrytande av behandling, hos patienter med aHUS

- Avbrytande eller avslutande av Ultomiris-behandling kan göra att dina aHUS-symtom kommer tillbaka.

Om du planerar att avbryta behandlingen med Ultomiris, måste du först diskutera med din läkare om det är lämpligt utifrån din medicinska situation och om de potentiella riskerna med att avbryta behandlingen.

Riskerna med att avbryta behandlingen är bland annat:

För patienter med PNH:

- Ökning av nivåerna av laktatdehydrogenas (LDH), en laboratoriemarkör för nedbrytning av röda blodkroppar
- En väsentlig sänkning av antalet röda blodkroppar (anemi)
- Mörk urin
- Trötthet
- Buksmärta
- Andfåddhet
- Sväljsvårigheter
- Erekttil dysfunktion (impotens)
- Förvirring eller förändrad uppmärksamhet
- Bröstsmärta eller kärlkramp
- Ökning av kreatininnivån i serum (problem med njurarna)
- Trombos (blodpropp)

För patienter med aHUS:

- Väsentlig minskning av antalet blodplättar (trombocytopeni)
- Väsentligt ökad nedbrytning av röda blodkroppar
- Ökning av nivåerna av laktatdehydrogenas (LDH), en laboratoriemarkör för nedbrytning av röda blodkroppar
- Minskade urinmängder (problem med njurarna)
- Ökning av kreatininnivån i serum (problem med njurarna)
- Förvirring eller förändrad uppmärksamhet
- Synförändringar
- Bröstsmärtor eller kärlkramp
- Andfåddhet
- Buksmärta, diarré
- Trombos (blodpropp)

KONTAKTA DIN LÄKARE OM DU FÅR NÅGOT AV DESSA SYMTOM.

RAPPORTERING AV BIVERKNINGAR

Om du får biverkningar, tala med läkare, apotekspersonal eller sjuksköterska. Detta gäller även biverkningar som inte nämns i denna information. Du kan också rapportera biverkningar direkt (se detaljer nedan). Genom att rapportera biverkningar kan du bidra till att öka informationen om läkemedels säkerhet.

webbplats: www.fimea.fi

Säkerhets- och utvecklingscentret för läkemedelsområdet Fimea
Biverkningsregistret
PB 55
00034 FIMEA

REFERENSER

1. Ultomiris® (ravulizumab) bipacksedel.

Versionsnummer: ULT_EURMP3.0_PTBR0_F1_v3_07122021

Detta dokument är senast godkänt av FIMEA december 2021.

Detta utbildningsmaterial motsvarar EU RMP v3.0

Vänligen se bipacksedeln för Ultomiris, inklusive information om allvarig meningokockinfektion.