

ULTOMIRIS® ▼ (ravulitsumabi)

Paroksysmaalinen nokturnaalinen hemoglobiuria (PNH),
epätyypillinen hemolyyttis-ureeminen oireyhtymä (aHUS)
ja yleistynyt myasthenia gravis (gMG)

Potilaan opas

- ▼ Tähän lääkkeeseen kohdistuu lisäseuranta. Tällä tavalla voidaan havaita nopeasti turvallisuutta koskevaa uutta tietoa. Voit auttaa ilmoittamalla kaikista mahdollisesti saamistasi haittavaikutuksista. Ks. pakkausselosteen kohdan 4 lopusta, miten haittavaikutuksista ilmoitetaan.

Johdanto

Tämä opas on tarkoitettu lapsi- ja aikuispotilaille, joilla on paroksysmaalinen nokturnaalinen hemoglobiuria (PNH); lapsi- ja aikuispotilaille, joilla on epätyypillinen hemolyytis-ureeminen oireyhtymä (aHUS) ja aikuispotilaille, joilla on yleistynyt myasthenia gravis (gMG). Opas sisältää tärkeitä Ultomiris-valmistetta koskevia turvallisuustietoja, jotka on huomioitava.

PNH:ta ja aHUSia sairastavien pienten lasten vanhemmille/ huoltajille on myös toinen opas, jonka saat lääkäriltä.

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.

Aplastinen anemia

Anemiatyyppi, jossa elimistö ei tuota riittävästi verisoluja.

Epätyypillinen hemolyytis-ureeminen oireyhtymä (aHUS)

Harvinainen oireyhtymä, jonka aiheuttaa immuunijärjestelmään kuuluvan komplementtijärjestelmän pitkäkestoinen yliaktiivisuus. Yliaktiivinen komplementtijärjestelmä vaurioittaa pieniä verisuonia ja aiheuttaa tromboottista mikroangiopatiaa (TMA), joka voi johtaa esimerkiksi aivoihin, munuaisiin ja sydämeen kohdistuvaan monielinvaurioon.

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 PNH:lle tyypillisen tummavirtsaisuuden.

Hemoglobiuria

Hemoglobiinivirtsaisuus. Tämä on tekninen termi tummalle, kolan väriselle 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.

Termien selitykset

Kohtauksittainen yöllinen hemoglobiuria (paroksysmaalinen nokturnaalinen hemoglobiuria, PNH)

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

Komplementtijärjestelmä (tunnetaan myös nimellä komplementtikaskadi tai pelkkä komplementti)

Puolustusjärjestelmän osa, joka tuhoaa bakteereja ja muita vieraita soluja. PNH:ssa komplementti tuhoaa punasoluja, joissa ei ole erityisiä suoja-protiineja.

Krooninen hemolyyysi

Punasolujen hajoaminen (hemolyyysi), joka on pitkäkestoista (kroonista).

Meningokokki-infektio

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

Munuaisvaurio tai munuaisten vajaatoiminta

Tila, jossa munuaisten toiminta heikkenee eivätkä ne pysty poistamaan kuona-aineita eivätkä säätelemään veden ja muiden tärkeiden aineiden määrää elimistössä.

Myelodysplastinen oireyhtymä

Joukko luuydinhäiriöitä, joissa luuydin ei tuota riittävästi terveitä verisoluja.

Punasolut

Verisolut, jotka kuljettavat happea hyödyntämällä hemoglobiini-nimistä proteiini-kompleksia. PNH:ssa komplementtijärjestelmä hyökkää jatkuvasti punasoluja vastaan ja tuhoaa niitä, koska niistä puuttuu tärkeitä suoja-protiineja. aHUS-oireyhtymässä punasolut tuhoutuvat kulkiessaan tukkeutuneiden ja vaurioituneiden pienten verisuonten läpi.

Sepsis

Verenmyrkytys (sepsis), jossa verenkierrossa esiintyy bakteereja (bakteremia), muita infektioita aiheuttavia mikrobeja tai niiden tuottamia myrkyjä, jotka leviävät elimistöön.

Tromboottinen mikroangiopatia (TMA)

Tromboottinen mikroangiopatia (TMA) on tila, joka aiheuttaa pienten verihyytymien muodostumista verisuoniin eri puolilla elimistöä. TMA:han liittyy munuaisvaurioita, punasolujen tuhoutumista ja verihutaleiden vähyyttä. Nämä poikkeavuudet todetaan lääkärin määräämissä laboratoriotutkimuksissa. TMS on tyypillinen aHUS-potilailla, ja sitä esiintyy myös monien muiden sairauksien yhteydessä.

Verihyytymät

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

Verisuonitukos (tromboottiset tapahtumat)

Verihyytymä, joka usein estää veren virtauksen verisuonessa. PNH:ssa verihyytymiä muodostuu tyypillisiin paikkoihin, mutta niitä voi ilmetä myös epätavallisissa paikoissa, kuten vatsan verisuonissa. aHUS-oireyhtymässä verihyytymiä voi muodostua tyypillisesti aivojen, munuaisten, sydämen ja muiden elinten pieniin verisuoniin (ks. "Verihyytymät").

Yleistynyt myasthenia gravis (gMG)

Myasthenia gravis (MG) on harvinainen toimintakykyä heikentävä neurologinen häiriö, jossa elimistön immuunijärjestelmä hyökkää hermo-lihasliitosta vastaan. Tämä hyökkäys vaurioittaa kudoksia ja heikentää hermo-lihasjohtumista, mikä voi näkyä myasthenia gravista sairastavilla invalidisoivana heikkoutena ja/tai väsymyksenä.

Usein kysytyt kysymykset

MITÄ TURVALLISUUSNÄKÖKOHTIA ULTOMIRIS-VALMISTEeseen LIITTYY?

TÄRKEITÄ TURVALLISUUSTIETOJA

Meningokokki-infektion riski

Koska Ultomiris estää osaa immuunijärjestelmästäsi toimimasta, se lisää vakavan infektion ja/tai sepsiksen riskiä. Infektion aiheuttajana voi olla erityisesti *Neisseria meningitidis* -niminen bakteeri. Se voi aiheuttaa aivokalvotulehduksen (meningiitin) tai vaikean veri-infektion.

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 (ks. alla).

VAROTOIMET

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

Rokotus pienentää meningokokki-infektion riskiä mutta ei estä sitä kokonaan.

Alle 18-vuotiaat lapset ja nuoret on rokotettava *Haemophilus influenzae*- ja pneumokokki-infektioita vastaan viimeistään 2 viikkoa ennen Ultomiris-hoidon aloittamista eri ikäryhmiä koskevien kansallisten rokotussuositusten mukaisesti.

SINUN ON PIDETTÄVÄ POTILASKORTTI MUKANASI KOKO ULTOMIRIS-HOIDON AJAN JA 8 KUUKAUDEN AJAN HOIDON PÄÄTTYMISEN JÄLKEEN JA NÄYTETTÄVÄ SE KAIKILLE SINUA HOITAVILLE TERVEYDENHUOLLON AMMATTILAISILLE.

MIHIN OIREISIIN ON SUHTAUDUTTAVA VAKAVASTI HOIDON AIKANA?

Sinun on tiedettävä meningokokki-infektion oireet ja löydökset ja ilmoitettava lääkärille välittömästi, jos yksikin seuraavista oireista ilmenee:



Päänsärky, johon liittyy pahoinvointia tai oksentelua



Kuume ja ihottuma



Päänsärky ja kuume



Sekavuus



Päänsärky, johon liittyy niskan tai selän jäykkyyttä



Lihassärky ja influenssan kaltaiset oireet



Kuume



Silmien valonarkuus



Vastasyntyneiden ja imeväisikäisten lasten vanhempien/hoitajien on huomioitava, että tyypillisiä oireita (päänsärky, kuume ja niskan jäykkyyks) voi olla vaikea huomata. Siksi vauvoilla huomiota on kiinnitettävä myös muihin oireisiin, joita ovat jaksamattomuus, ärtyisyys, oksentelu ja ruokahaluttomuus.

Vanhemman aHUS-/PNH-oppaassa on lisätietoja meningokokki-infektion oireista ja löydöksistä vauvoilla ja lapsilla.

**JOS ET TAVOITA
LÄÄKÄRIÄSI, HAKEUDU
ENSIAPUUN JA NÄYTÄ
POTILASKORTTISI.**



ESIAPU



ONKO MINUN TEHTÄVÄ JOTAKIN ENNEN HOIDON ALOITTAMISTA?

Ennen hoidon aloittamista lääkäri keskustelelee kanssasi seuraavista tärkeistä asioista:

- Rokottaminen meningokokki-infektiota vastaan ja joissain tapauksissa antibiootihoidon aloittaminen *Neisseria meningitidis* -bakteerin aiheuttaman infektion riskin pienentämiseksi.
- Lapsipotilaat: Muut rokotukset, kuten *Haemophilus influenzae*- ja pneumokokkirokotteet.

Lääkäri tai sairaanhoitaja varmistaa, että saat meningokokkirokotteen viimeistään 2 viikkoa ennen ensimmäistä infuusiota. Jos aloitat Ultomiris-hoidon ennen kuin meningokokkirokotuksesta on kulunut 2 viikkoa, lääkäri tai sairaanhoitaja varmistaa, että saat antibioottilääkityksen *Neisseria meningitidis* -infektioriskin pienentämiseksi, kunnes rokotuksesta on kulunut 2 viikkoa.

- Potilaskortissa mainittuihin infektioihin liittyvien oireiden ymmärtäminen ja tarvittavat toimenpiteet, jos huomaat näitä oireita.
- Huolellinen lääkärin seuranta Ultomiris-hoidon mahdollisen keskeyttämisen jälkeen.

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

LIITTYYKÖ ULTOMIRIS-HOITON MUITA HUOMIOON OTETTAVIA TEKIJÖITÄ?

Vakavat infektiot: Ultomiris-valmisteen antamisessa tulee sen vaikutusmekanismin vuoksi noudattaa varovaisuutta systeemisiä infektioita sairastavilla potilailla. Sinun on seurattava oireitasi ja ilmoitettava kaikista muutoksista lääkärille. Myös *Neisseria gonorrhoeae* -bakteerin aiheuttamia infektioita, esimerkiksi levinneitä gonokokki-infektioita, voi esiintyä. Lääkäri neuvoo, miten gonokokki-infektiota (tippuria) ehkäistään tämän lääkkeen käytön aikana.

Infuusioon liittyvät reaktiot/allergiset reaktiot: Ultomiris sisältää proteiinia, ja proteiinit voivat aiheuttaa joillekin infuusioon liittyviä reaktioita tai allergisia reaktioita (mukaan lukien anafylaksin). Jos huomaat merkkejä tai oireita, kun olet saanut Ultomiris-valmistetta, kysy neuvoa hoidostasi vastaavalta terveydenhuollon ammattilaiselta.

Verenkuvan muutokset ja pahanlaatuisuudet: Sairauden luonnollisen kulun vuoksi PNH-potilailla on riski sairastua aplastiseen anemiaan tai myelodysplastiseen oireyhtymään. Toistaiseksi ei tiedetä, suurentaako Ultomiris tällaisten verenkuvan muutosten tai pahanlaatuisuuksien riskiä. Oireita on seurattava, ja kaikista muutoksista on ilmoitettava lääkärille.

Raskaus: Ultomiris-valmistetta ei suositella raskauden aikana. Jos olet raskaana tai suunnittelet lapsen hankkimista, kerro asiasta lääkärille ennen Ultomiris-hoidon aloittamista. Naisten, jotka voivat tulla raskaaksi, on käytettävä riittävää ehkäisy menetelmää hoidon aikana ja 8 kuukauden ajan hoidon päättymisen jälkeen.

Ultomiris-hoitoa saavien miespotilaiden ei pidä siittää lasta eikä luovuttaa siittiöitä, ennen kuin hoidosta on kulunut 8 kuukautta.

Imetys: Ultomiris voi siirtyä äidinmaidon kautta lapseen. Siksi et saa imettää Ultomiris-hoidon aikana etkä 8 kuukauteen hoidon päättymisen jälkeen.

MITEN PÄÄSEN ALKUUN ULTOMIRIS-HOIDOSSA?

Ultomiris-hoito edellyttää lääkärin määräystä. Saat myös aloituspaketin, joka sisältää seuraavat:

- **Potilaskortti:** Tietynyyppiset infektiot on hyvin tärkeää tunnistaa ja hoitaa nopeasti Ultomiris-hoitoa saavilla potilailla. Siksi saat potilaskortin, jossa luetaan erityiset oireet, joita on aina tarkkailtava. Sinun on pidettävä tämä kortti mukana koko Ultomiris-hoidon ajan ja 8 kuukauden ajan viimeisen annoksen jälkeen ja näytettävä se kaikille sinua hoitaville terveydenhuollon ammattilaisille.
- **Potilaan opas**
- **Vanhemman opas** (annetaan Ultomiris-valmistetta saavien, aHUSia/PNH:ta sairastavien pienten lasten vanhemmille/huoltajille)
- **Ultomiris-pakkausseloste**

MITEN ULTOMIRIS ANNETAAN?

Ultomiris annetaan laskimonsisäisenä infuusiona.

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

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



MITEN PITKÄÄN ULTOMIRIS-VALMISTETTA OTETAAN?

PNH, aHUS ja gMG ovat kroonisia sairauksia, joten Ultomiris on tarkoitettu jatkuvaksi hoidoksi. Hoitoa on jatkettava, vaikka olo paranisi.

Ultomiris-hoidon keskeyttäminen tai lopettaminen voi aiheuttaa oireiden palaamisen.

ET SAA LOPETTAA HOITOA ILMAN LÄÄKETIETEELLISTÄ VALVONTAA

Vakavan hemolyyysin riski hoidon lopettaneilla PNH-potilailla

- Jos Ultomiris-hoito keskeytetään tai lopetetaan, PNH:n oireet saattavat palata vaikeampina pian hoidon lopettamisen jälkeen. Lääkäri seuraa vointia tarkoin vakavan hemolyyysin merkkien ja oireiden varalta.

Oireiden uusiutumisriski hoidon lopettaneilla aHUS- tai gMG-potilailla

- Ultomiris-hoidon keskeyttäminen tai lopettaminen voi aiheuttaa aHUS- tai gMG-oireiden palaamisen.

Jos suunnitteilla on Ultomiris-hoidon lopettaminen, asiasta on keskusteltava etukäteen lääkärin kanssa. Lääkäri kertoo, onko lopettaminen tilanteen kannalta järkevää ja mitä haittavaikutuksia ja riskejä siihen voi liittyä.

Hoidon lopettamiseen liittyviä riskejä ovat:

PNH-potilaat:

- laboratoriotesteissä näkyvän laktaattidehydrogenaasin (LDH:n) pitoisuuden nousu, joka on merkki punasolujen tuhoutumisesta
- punasolumäärän voimakas lasku (anemia)
- tummavirtsaisuus
- väsymys
- vatsakipu
- hengenahdistus
- nielemisvaikeudet
- erektiovaikeudet
- sekavuus tai muutos vireystilassa
- rintakipu tai rasisurintakipu
- seerumin kreatiniinipitoisuuden nousu (merkki munuaisongelmista)
- verihyytymätukos (tromboosi)

aHUS-potilaat:

- verihiutalemäärän voimakas lasku (trombosytopenia)
- huomattavasti lisääntynyt punasolujen tuhoutuminen
- laboratoriotesteissä näkyvä laktaattidehydrogenaasin (LDH:n) pitoisuuden nousu, joka on merkki punasolujen tuhoutumisesta
- virtsantuotannon väheneminen (merkki munuaisongelmista)
- seerumin kreatiniinipitoisuuden nousu (merkki munuaisongelmista)
- sekavuus tai muutos vireystilassa
- näköaistin muutokset
- rintakipu tai rasisurintakipu
- hengenahdistus
- vatsakipu, ripuli
- verihyytymätukos (tromboosi)

JOS SINULLA ESIINTYY JOKIN NÄISTÄ OIREISTA, OTA YHTEYS LÄÄKÄRIIN.

HAITTAVAIKUTUKSISTA ILMOITTAMINEN

Jos havaitset haittavaikutuksia, kerro niistä lääkärille, apteekkihenkilökunnalle tai sairaanhoitajalle. Tämä koskee myös sellaisia mahdollisia haittavaikutuksia, joita ei ole mainittu pakkausselosteessa. Voit ilmoittaa haittavaikutuksista myös suoraan (ks. yhteyshiedot 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

VIITTEET

1. Ultomiris® (ravulitsumabi) -pakkausseloste.

Versionumero: ULT_EURMP4.0_PTBR0_FI_v4_03012023

Tämän asiakirjan hyväksynyt viranomainen on FIMEA tammikuu 2023.

Tämä tiedotemateriaali vastaa riskienhallintasuunnitelman (EU) versiota 4.0.

Lue paikallinen Ultomiris-pakkausseloste, myös vakavaa meningokokki-infektiota koskevat tiedot.