

برنامج الوصول المُدار (MAP) الخاص بلونافارنيب
معلومات، وأسئلة، وأجوبة
للمرضى، ومقدمي الرعاية، والأطباء
يونيو 2019

ترعى Eiger BioPharmaceuticals، الشركة المصنعة لعقار لونافارنيب، برنامج وصول مُدار (MAP). يهدف برنامج الوصول المُدار هذا إلى السماح للمرضى المؤهلين الذين يعانون من متلازمة الشبخوخة المبكرة هتشينسون-جيلفورد (HGPS) أو الشبخوخة المبكرة) أو اعتلال الصفائح الدموية الشائخة مبكرًا (PL) بالحصول على العلاج باستخدام لونافارنيب. سيوفر برنامج الوصول المُدار لونافارنيب لمرضى متلازمة الشبخوخة المبكرة هتشينسون-جيلفورد واعتلال الصفائح الدموية الشائخة مبكرًا المؤهلين في 3 فئات:

(1) أولئك الذين لم يسبق أن تناولوا لونافارنيب من قبل؛

(2) أولئك الذين تناولوا لونافارنيب من قبل ولكنهم لا يتناولون لونافارنيب في هذا الوقت؛

(3) أولئك الذين تناولوا لونافارنيب كجزء من تجربة سريرية ويودون مواصلة العلاج بلونافارنيب عند الانتهاء من مشاركتهم في التجربة السريرية. إذا كنت أنت/طفلك تشارك حاليًا في التجربة في مستشفى بوسطن للأطفال وكنت أنت/طفلك في الجزء الذي يتضمن العقار يفيروليموس من الدراسة، فستتاح لك الفرصة لتلقي لونافارنيب من خلال برنامج الوصول المُدار بعد انتهاء التجربة. إذا كنت أنت/طفلك في دراسة التوسع للتجربة في مستشفى بوسطن للأطفال، وتتناول حاليًا لونافارنيب فقط، فستنتقل أنت/طفلك إلى برنامج الوصول المُدار. سيتم التخطيط للانتقال بعناية بحيث يظل تزويد العقار ثابتًا.

يعتبر لونافارنيب حاليًا علاجًا تجريبيًا لمتلازمة الشبخوخة المبكرة هتشينسون-جيلفورد واعتلال الصفائح الدموية الشائخة مبكرًا. حتى كتابة هذا التقرير، لم تتم الموافقة على لونافارنيب من قِبل أي من السلطات التنظيمية في العالم لتسويقه. بكلمات أخرى، لا يمكنك الذهاب إلى صيدلية محلية بوصفة طبية من طبيبك/طبيب طفلك والحصول على المنتج.

بالنسبة لمرضى متلازمة الشبخوخة المبكرة هتشينسون-جيلفورد واعتلال الصفائح الدموية الشائخة مبكرًا المؤهلين المقيمين في بلد يسمح بتقديم برنامج الوصول المُدار الخاص بلونافارنيب، ستكون هذه هي الوسيلة الوحيدة للحصول على العقار، إلا إذا كنت أنت/طفلك لا تزال تشارك في دراسة مستشفى بوسطن للأطفال والتي تشمل لونافارنيب. سيظل برنامج الوصول المُدار الخاص بلونافارنيب تشغيليًا حتى يتوفر التوريد التجاري للونافارنيب لعلاج متلازمة الشبخوخة المبكرة هتشينسون-جيلفورد واعتلال الصفائح الدموية الشائخة مبكرًا في بلدك. إذا تغير ذلك، فسيتم إخطار جميع المشاركين في برنامج الوصول المُدار.

تتضمن الصفحات التالية قائمة بالأسئلة والإجابات والملحقين أ و ب.

الأسئلة والإجابات

1. ما هو برنامج الوصول المُدار (MAP)؟

- يمكن برنامج الوصول المُدار المريض المؤهل الذي يعاني من حالة تهدد حياته من الحصول على دواء لم تتم الموافقة عليه للبيع التجاري بعد من قِبَل السلطة التنظيمية في بلده.

2. ما الذي يجب عليّ فعله حتى يتم النظر في إدراجي في برنامج الوصول المُدار الخاص بلونافارنيب؟

- يجب أن يكون لدى جميع المرضى الذين يرغبون في المشاركة في برنامج الوصول المُدار الخاص بلونافارنيب طبيب محلي على استعداد للوفاء بمتطلبات البرنامج.
- نظرًا لأن لونافارنيب هو منتج دوائي تجريبي، من المهم جدًا أن يفهم طبيب كل مريض كيفية استخدام لونافارنيب في علاج المرضى الذين يعانون من متلازمة الشيوخة المبكرة هنتشينسون-جيلفورد أو اعتلال الصفائح الدموية الشائخة مبكرًا. سيتم تقديم معلومات مهمة للطبيب المعالج عند تسجيله في برنامج الوصول المُدار الخاص بلونافارنيب.
- تستخدم Eiger BioPharmaceuticals شركة ذات خبرة عالية تسمى كلينيجين لمساعدة طبيبك المحلي على نقلك أنت/طفلك إلى برنامج الوصول المُدار. كما ستشرف كلينيجين على البرنامج بشكل مستمر.
- الطبيب مسؤول عن تسجيل نفسه وتسجيلك أنت/طفلك لدى كلينيجين. يجب إكمال التسجيل من قِبَل الطبيب المحلي. يتم ذلك عن طريق الاتصال بكلينيجين. لا يمكن للأسر/المرضى تسجيل أنفسهم.
- يضمن الطبيب المعالج أن لدى كلينيجين كل المعلومات المناسبة الضرورية لكي يتم توزيع لونافارنيب بشكل مناسب.
- بعد التسجيل الناجح من قِبَل الطبيب والتأكد من استيفاء المريض لمعايير البرنامج، يطلب الطبيب الذي يعالج الطفل لونافارنيب من كلينيجين.
- يتم تسليم لونافارنيب إلى مكتب الطبيب المحلي أو صيدلية/عيادة المستشفى. يمكن أن يطلب الطبيب المعالج لونافارنيب قبل نفاذ إمدادات المريض من لونافارنيب بـ 6 أسابيع. في حالة عدم قيام الطبيب بطلب لونافارنيب قبل شهر واحد على الأقل من التاريخ المتوقع لانتهاؤ تزويد العقار، سيتم إرسال تذكير عبر البريد الإلكتروني إلى الطبيب لتسريع إعادة الطلب. تحتوي كل شحنة من لونافارنيب على إمدادات لمدة 4 أشهر. إذا تغير هذا، فسيتم إخطار جميع المشاركين في برنامج الوصول المُدار.
- سيقوم الطبيب عندئذ بتوزيع العقار لك/طفلك.
- لا تسمح جميع البلدان بتقديم برامج الوصول المُدارة إلى سكانها. يتضمن الملحق أ قائمة بالدول وحالة برنامج الوصول المُدار الخاص بلونافارنيب لديها. إذا لم يكن البلد الذي تقيم فيه أنت/طفلك موجودًا على القائمة، فقد يظل برنامج الوصول المُدار ممكنًا. في هذه الحالة، يُرجى الاتصال بمؤسسة دراسة الشيوخة المبكرة على الرقم 978-535-2594 أو إرسال رسالة بريد إلكتروني إلى info@progeriaresearch.org. بالمقابل، يمكن للطبيب المعالج الاتصال بفريق الحصول على الدواء في كلينيجين على 1932 824123 (0) 44+ أو عن طريق البريد الإلكتروني medicineaccess@clinigengroup.com.

3. ما المطلوب للتأهل لبرنامج الوصول المُدار؟

لتكون مؤهلاً لبرنامج الوصول المُدار، يجب أن يكون عمرك/عمر طفلك 12 شهرًا على الأقل وأن نفي بجميع المعايير التالية:

1. تشخيص الإصابة بمتلازمة الشيوخة المبكرة هنتشينسون-جيلفورد (الشيوخة المبكرة) أو اعتلال الصفائح الدموية الشائخة مبكرًا.
2. اختبارات دم للتأكد من أن الكبد لديك/لدى طفلك قادر على معالجة لونافارنيب بشكل صحيح.
3. لا توجد أي عدوى غير خاضعة للسيطرة أو أي مرض طبي خطير قد يجعل من المشاركة في برنامج الوصول المُدار غير آمن لك/طفلك.
4. اختبار حمل سلبي النتيجة إذا كنت أنت/طفلك أنثى في سن الإنجاب.

5. لا يمكن تناول بعض الأدوية وبعض الأطعمة أثناء تناولك أنت/طفلك لونافارنيب. سناقش طبيبك هذه الأمور معك. يُنصح بتوخي الحذر لدى استخدام لونافارنيب وأي ركائز CYP3A حساسة ومثبطات أو محفزات CYP3A قوية أو معتدلة. يمكن لهذه الأدوية تغيير أيض لونافارنيب. تحدث مع طبيبك حول الأدوية التي تقي بأي من هذه المعايير.

أ. أخبر الطبيب المعالج عن جميع الأدوية والعلاجات العشبية التي تتناولها. قد تصنف بعض الأدوية والعلاجات العشبية على أنها مثبطات أو محفزات CYP3A. هذا يعني أنها قد تغير أيض لونافارنيب. يجب على الأشخاص الذين يتناولون لونافارنيب التوقف عن استخدام العلاجات العشبية والأدوية والأطعمة (عصير الجريب فروت وبرتقال إشبيلية) التي تُثبِّط CYP3A أو تحفزها.

يتضمن الملحق ب المعايير الكاملة للإدراج في برنامج الوصول المُدار والاستبعاد منه. سيرغب الطبيب المعالج برؤية كلتا المجموعتين من المعايير.

4. ما المدة التي يمكن علاج المريض خلالها باستخدام لونافارنيب كجزء من برنامج الوصول المُدار؟

• ستواصل Eiger إتاحة الحصول على لونافارنيب من خلال كلينيجين حتى تقرر التوقف عن العلاج أو حتى يتم اعتماد لونافارنيب وإتاحته تجارياً في بلدك. بمجرد توفر لونافارنيب تجارياً، ستتمكن من الحصول عليه من خلال الحصول على وصفة طبية من الطبيب الذي يعالجك أنت/طفلك.

5. كم مرة سأحتاج لزيارة طبيبي لأخذ لونافارنيب أثناء البرنامج؟

• يجب أن تخطط أنت أو مقدم الرعاية المتابع لك لأخذ لونافارنيب من الطبيب المعالج كل 4 أشهر على الأقل.

6. بمجرد التسجيل بنجاح في برنامج الوصول المُدار، كيف يمكنني الاستمرار في الحصول على عبوات لونافارنيب؟

• سيقوم الطبيب المعالج بتقديم طلب للحصول على لونافارنيب من خلال نظام عبر الإنترنت تقدمه كلينيجين. سيتم شحن لونافارنيب إلى طبيبك ويمكن عادةً أن تأخذه أنت/مقدم الرعاية المتابع لك في عيادته.

7. كيف يسجل طبيبي في برنامج الوصول المُدار؟

• سيقوم الطبيب المعالج بالتسجيل في برنامج الوصول المُدار عن طريق الاتصال بكلينيجين على 1932 824123 (0) +44 أو عن طريق البريد الإلكتروني medicineaccess@clinigengroup.com. طبيبك المعالج هو الشخص الوحيد الذي يمكنه تسجيلك في برنامج الوصول المُدار. لا ينبغي على المرضى أو مقدمي الرعاية الاتصال بكلينيجين بخصوص التسجيل في برنامج الوصول المُدار.

8. من سيساعد في المعلومات المتعلقة بالآثار الجانبية المرتبطة بلونافارنيب أو إذا كانت لدي أسئلة أثناء تناول لونافارنيب؟

• سيقوم الطبيب المعالج بإدارة الآثار الجانبية لديك. إذا كانت لدى طبيبك أي أسئلة، فيمكنه الاتصال بقسم الشؤون الطبية في Eiger من خلال إرسال رسالة بريد إلكتروني إلى ProgeriaMA@eigerbio.com. يُطلب من طبيبك إعطاء معلومات الاتصال الخاصة به في البريد الإلكتروني. سيمكن هذا Eiger من الاتصال إذا لم يكن بالإمكان الإجابة عن السؤال/الأسئلة بالبريد الإلكتروني.

9. في حال حدوث أثر عكسي خطير، بمن يجب الاتصال؟

- يتحمل المريض والطبيب مسؤولية الإبلاغ عن الآثار العكسية الخطيرة المرتبطة باستخدام لونافارنيب وفقاً لمتطلبات السلطة الصحية المحلية.
- نوفيلا هي الشركة التي تقدم جميع خدمات تقارير السلامة لبرنامج الوصول المُدار. على هذا النحو، يجب الإبلاغ عن الآثار العكسية الخطيرة (SAEs) باستخدام نموذج الإبلاغ عن الآثار العكسية الخطيرة الخاص بنوفيلا والمتاح على نظام كلينيجين. يمكن للأطباء أيضاً الاتصال بنوفيلا مباشرةً باستخدام دليل أرقام الهواتف العالمية المضمنة في نظام كلينيبيورت.
- لا يجب إبلاغ كلينيجين بأي نوع من الآثار العكسية.

10. مع من أتحدث إذا كانت لدي أسئلة إضافية بخصوص برنامج الوصول المُدار الخاص بلونافارنيب؟

- يجب أن يبدأ المرضى أو مقدمو الرعاية دائماً بطرح الأسئلة على أطبائهم. في حال عدم مقدرة طبيبك/طبيب طفلك الإجابة على السؤال، يمكن للطبيب الاتصال بفريق الحصول على الدواء في كلينيجين على 1932 824123 (0) +44 أو عن طريق البريد الإلكتروني medicineaccess@clinigengroup.com. يمكن للطبيب أيضاً إرسال بريد إلكتروني إلى [Eiger](mailto:Eiger@eigerbio.com) على ProgeriaMA@eigerbio.com. لا ينبغي على المرضى أو مقدمي الرعاية الاتصال بكلينيجين. بدلاً من ذلك، يجب على المرضى ومقدمي الرعاية فقط الاتصال بمؤسسة دراسة الشيخوخة المبكرة على الرقم 978-535-2594 أو عن طريق إرسال رسالة بريد إلكتروني إلى info@progeriaresearch.org.

الملحق أ

حالة برنامج الوصول المُدار الخاص بالدول

إذا لم تكن الدولة المعنية مدرجة في أي من هذه القوائم، فيرجى الاتصال بمؤسسة دراسة الشبخوخة المبكرة على الرقم 978-535-2594 أو عن طريق إرسال رسالة بريد إلكتروني إلى info@progeriaresearch.org.

الدول المتاحة بها برنامج الوصول المُدار الخاص بلونافارنيب منذ يونيو 2019	
نعم	الولايات المتحدة الأمريكية
نعم	الأرجنتين
نعم	البرازيل
نعم	البرتغال
نعم	الجزائر
نعم	الدنمارك
نعم	السويد
نعم	الصين
نعم	المكسيك
نعم	المملكة المتحدة
نعم	الهند
نعم	إسبانيا
نعم	إسرائيل
نعم	إندونيسيا
نعم	أستراليا
نعم	أوكرانيا
نعم	باكستان
نعم	بنجلاديش
نعم	جمهورية الدومنيكان
نعم	جنوب أفريقيا
نعم	روسيا
نعم	صربيا
نعم	عمان
نعم	فرنسا
نعم	كازاخستان
نعم	كندا
نعم	كوريا الجنوبية
نعم	كولومبيا
نعم	ناميبيا

البلدان التي سيتوفر فيها برنامج الوصول المُدار الخاص بلونافارنيب*	
العراق	بلجيكا
الفلبين	بولندا
المملكة العربية السعودية	تايوان
اليابان	تركيا
إيطاليا	مصر
ألمانيا	

*التوقيت الدقيق لتوفر برنامج الوصول المُدار في هذه البلدان غير معروف. إذا كنت أنت/طفلك من إحدى هذه البلدان وكنت أنت/طفلك مهتمًا بالمشاركة في برنامج الوصول المُدار الخاص بلونافارنيب، فيرجى الاتصال بمؤسسة دراسة الشبخوخة المبكرة.

البلدان التي لن يتوفر فيها برنامج الوصول المُدار الخاص بلونافارنيب**	
تاجيكستان	فلسطين- غزة
تنزانيا	ليبيا
توجو	نيبال
هندوراس	
سورينام	
سيريلانكا	

**قد لا تكون هذه قائمة شاملة. إذا كنت أنت/طفلك من إحدى هذه البلدان وتريد الحصول على لونافارنيب لـ HGPS أو PLS، فيرجى الاتصال بمؤسسة دراسة الشبخوخة المبكرة.

الملحق ب

معايير الإدراج والاستبعاد

يحتوي هذا القسم على لغة طبية ويهدف في المقام الأول إلى جعلك قادرًا على التواصل مع طبيبك/طبيب طفلك المحلي.

معايير الإدراج

1. تشخيص سريري بالإصابة بمتلازمة الشبخوخة المبكرة هتثينسون-جيلفورد أو اعتلال الصفائح الدموية الشانخة ميكراً من قبل طبيب مؤهل (بناءً على النمط الظاهري الشائع كما هو موصوف في Gordon et al, 2015 and Meredith et al, 2008). يفضل تأكيد الاختبارات الجينية لكنه ليس أمرًا إلزاميًا.
2. عمر المريض أكثر من 12 شهرًا
3. يجب أن تكون وظائف الكبد لدى المرضى كافية على النحو المحدد في SGPT (ALT) و SGOT (AST) \geq أعلى 5 مرات من الحد الأعلى من الطبيعي للعمر
4. يجب الحصول على موافقة مستنيرة موقّعة من الوالد (الوالدين) أو الوصي (الأوصياء) قبل أي إجراءات للبرنامج

معايير الاستبعاد

سيتم استبعاد المرضى الذين يستوفون أيًا من المعايير التالية من البرنامج:

1. يجب ألا يكون المرضى يتناولون أدوية أو أطعمة معروفة بأنها محفزات أو مثبطات معتدلة أو قوية لـ CYP3A4 أو ركائز CYP3A (القائمة موجودة في الموافقة المستنيرة).
2. يجب ألا يكون المرضى يتناولون ديجوكسين، وهو ركيزة لـ P-gp مع نافذة علاجية ضيقة.
3. يجب ألا يكون لدى المرضى أي عدوى غير خاضعة للسيطرة.
4. يجب ألا يكون لدى المرضى خلل كبدي واضح.
5. يجب ألا يكون لدى المرضى حالة طبية نشطة سريريًا والتي يرى الطبيب المعالج أنها تمنعهم من المشاركة بأمان في البرنامج.
6. يجب ألا يكون لدى المرضى فرط حساسية معروف أو مشتبه به لأي من السواغات المشمولة في التركيبة.
7. يجب ألا تكون المريضات حوامل أو ترضعن إرضاعًا طبيعيًا أو تخططن للحمل أثناء العلاج.