

Lonafarnib 管制下获得药物计划 (Managed Access Program, MAP)
针对患者、护理者和医生
的信息、问题和回答
2019 年 6 月

药物 lonafarnib 的制造商 Eiger BioPharmaceuticals 正在赞助一项管制下获得药物计划。该管制下获得药物计划的目的是让符合条件的早年衰老综合症 (Hutchinson-Gilford Progeria Syndrome, HGPS 或 Progeria) 或早衰样核纤层蛋白病 (Progeroid Laminopathy, PL) 患者获得 lonafarnib 治疗。管制下获得药物计划将为符合条件的 3 类早年衰老综合症和早衰样核纤层蛋白病患者提供 lonafarnib:

- 1) 以前从未服用过 lonafarnib 的患者;
- 2) 以前服用过 lonafarnib, 但现在没有服用 lonafarnib 的患者;
- 3) 作为临床试验的一部分服用了 lonafarnib 并希望在完成临床试验后继续使用 lonafarnib 治疗的患者。如果您/您的孩子目前正在波士顿儿童医院参加试验, 并且您/您的孩子参与了包括药物依维莫司在内的研究, 您将有机会在试验结束后通过管制下获得药物计划来接受 lonafarnib。如果您/您的孩子正在参加波士顿儿童医院试验的扩展研究, 目前仅服用 lonafarnib, 您/您的孩子将转移进入管制下获得药物计划。将仔细规划该转移, 使药物供应保持一致。

目前, lonafarnib 被认为是用于早年衰老综合症和早衰样核纤层蛋白病的一种试验性治疗药物。截至本通讯稿件撰写之日, lonafarnib 尚未获得世界任何监管机构批准上市销售。换句话说, 您不能带着您/您孩子的医生开的处方去当地的药房买到该产品。

对于居住在允许提供 lonafarnib 管制下获得药物计划的国家的合格早年衰老综合症和早衰样核纤层蛋白病患者, 这将是获得药物的唯一途径, 除非您/您的孩子仍在参与波士顿儿童医院包含 lonafarnib 的研究。在您所在的国家治疗早年衰老综合症和早衰样核纤层蛋白病的 lonafarnib 上市供应之前, lonafarnib 管制下获得药物计划将一直保持运作。如果该情况应该改变, 将通知所有管制下获得药物计划参与者。

接下来的几页包括问题和答案列表以及附录 A 和 B。

问题和回答

1. 什么是管制下获得药物计划？

- 管制下获得药物计划使患有威胁生命病症的合格患者能够获得尚未获得其国家监管机构批准上市销售的药物。

2. 我需要做什么，才能得到 lonafarnib 管制下获得药物计划的考虑？

- 所有希望参与 lonafarnib 管制下获得药物计划的患者必须有一名愿意履行该计划要求的当地医生。
- 因为 lonafarnib 是一种试验性药物，所以每位患者的医生都必须了解如何使用 lonafarnib 治疗早年衰老综合症患者或早衰样核纤层蛋白病患者。患者一注册 lonafarnib 管制下获得药物计划，就会将重要信息提供给主治医生。
- Eiger Biopharmaceuticals 正在使用一家名为 Clinigen 的经验非常丰富的公司来帮助您当地的医生将您/您的孩子转移到管制下获得药物计划中。Clinigen 还将持续监督该计划。
- 该医生负责与 Clinigen 一起注册他/她自己和您/您的孩子。注册必须由当地医生完成。该注册是通过联系 Clinigen 来完成的。家人/患者不能自行注册。
- 主治医生将确保 Clinigen 持有所有必要的适当信息，以便可以恰当分配 lonafarnib。
- 在主治医生成功注册并确保患者符合该计划标准后，他/她从 Clinigen 订购儿童 lonafarnib。
- Lonafarnib 会被发送到当地医生办公室或医院/诊所药房。主治医生可在患者的 lonafarnib 供应药物耗尽前 6 周订购 lonafarnib。如果该医生在预计用完药物供应量前至少一个月没有订购 lonafarnib，则会向该医生发送提醒电子邮件，提示其重新订购。每批 lonafarnib 的药物供应量为 4 个月。如果该情况应该改变，将通知所有管制下获得药物计划参与者。
- 然后该医生会给您/您的孩子分配该药物。
- 并非所有国家都允许向其居民提供管制下获得药物计划。附录 A 包括一份国家列表及其 lonafarnib 管制下获得药物计划状态。如果没有列出您/您的孩子居住的国家，可能仍可以使用管制下获得药物计划。在这种情况下，请联系 Progeria 研究基金会，电话为 978-535-2594，或发送电子邮件至 info@progeriaresearch.org。否则，主治医生可联系 Clinigen 的药物获取团队，电话为 +44 (0) 1932 824123，或发送电子邮件至 medicineaccess@clinigengroup.com。

3. 管制下获得药物计划的资格要求是什么？

您/您的孩子必须年满 12 个月并且符合以下所有标准，才能具备参加管制下获得药物计划的资格：

1. 诊断患有早年衰老综合症（Progeria）或早衰样核纤层蛋白病。
2. 血液检测结果确保您/您孩子的肝脏和肾脏能够正确处理 lonafarnib。

3. 没有不受控制的感染或其它可能使您/您的孩子参与管制下获得药物计划不安全的严重疾病。
4. 如果您/您的孩子是女性且处于生育年龄，并且妊娠测试结果为阴性。
5. 当您/您的孩子服用 lonafarnib 时，不能摄入某些药物和食物。您的医生将与您讨论这些事宜。使用 lonafarnib 和任何敏感性 CYP3A 底物以及强效或中等 CYP3A 抑制剂或诱导剂时，建议要小心。这些药物可能会改变 lonafarnib 的代谢。和您的医生讨论满足任何这些标准的药物。
 - a. 告诉主治医师您正在使用的所有药物和草药。某些药物和草药可归类为 CYP3A 抑制剂或诱导剂。这意味着它们可能会改变 lonafarnib 的代谢。服用 lonafarnib 的人应停止摄入抑制或诱导 CYP3A 的草药、药物和食品（葡萄柚汁和塞维利亚橙子）。

附录 B 包含了完整的管制下获得药物计划纳入和排除标准。主治医师将希望查看这两套标准。

4. 作为管制下获得药物计划的一部分，一名患者可使用 lonafarnib 治疗多长时间？

- Eiger 将持续通过 Clinigen 提供 lonafarnib，直到您决定停止治疗，或直到 lonafarnib 在您的国家获得批准并上市销售。一旦它上市销售，您就可以从您/您孩子的主治医生那里开一张处方来获取 lonafarnib。

5. 在该计划期间，我需要多久去看一次我的医生以获取 lonafarnib？

- 您或您的护理者应计划至少每 4 个月从主治医师处获取一次 lonafarnib。

6. 一旦成功注册管制下获得药物计划，我如何继续重新补充 lonafarnib？

- 主治医师将通过 Clinigen 提供的在线系统订购 lonafarnib。Lonafarnib 将被运送到您的医生处，您/您的护理者通常可以在其诊室获得该药物。

7. 我的医生如何注册管制下获得药物计划？

- 您的主治医师将通过拨打+44 (0) 1932 824123 或发送电子邮件至 medicineaccess@clinigengroup.com 注册管制下获得药物计划。您的主治医师是唯一可以为您注册管制下获得药物计划的人。患者或护理者不应就管制下获得药物计划的注册事宜联系 Clinigen。

8. 谁将帮助提供有关 lonafarnib 相关副作用的信息，或者如果我在服用 lonafarnib 时有疑问应该联系谁？

- 您的主治医师会控制您的副作用。如果您的医生有任何问题，他们可以通过发送电子邮件至 ProgeriaMA@eigerbio.com 联系 Eiger 的医学事务部门。要求您的医生在电

子邮件中提供他们的联系信息。这将使得 Eiger 在无法通过电子邮件回答问题时能够拨打电话。

9. 如果发生严重不良事件，应联系谁？

- 根据当地卫生部门的要求，患者和医生有责任报告与 lonafarnib 使用相关的严重不良事件。
- Novella 是为管制下获得药物计划提供所有安全报告服务的公司。因此，应使用 Cliniport 系统上的 Novella 严重不良事件报告表报告严重不良事件（Serious Adverse Event, SAE）。医生也可以使用 Cliniport 系统中包含的全球电话号码目录直接致电 Novella。
- 任何类型的不良事件都不应报告给 Clinigen。

10. 如果我对 lonafarnib 管制下获得药物计划有其他问题，我该和谁交谈？

- 患者或护理者一开始应该总是先向医生提问。如果您/您孩子的医生不能回答这个问题，该医生可以通过 +44 (0) 1932 824123 或发送电子邮件至 medicineaccess@clinigengroup.com 来联系 Clinigen 药物获取团队。医生也可以通过 ProgeriaMA@eigerbio.com 给 Eiger 发电子邮件。患者或护理者不应联系 Clinigen。取而代之的是，患者和护理者应该只联系 Progeria 研究基金会，其电话为：978-535-2594，或发送电子邮件至 info@progeriaresearch.org。

附录 A

国家管制下获得药物计划的状态

如果您感兴趣的不在这些列表中，请联系 Progeria 研究基金会，其电话为：978-535-2594，或发送电子邮件至 info@progeriaresearch.org。

提供 lonafarnib 管制下获得药物计划的国家 (2019 年 6 月)			
是的	美国		是的 哈萨克斯坦
是的	阿尔及利亚		是的 墨西哥
是的	阿根廷		是的 纳米比亚
是的	澳大利亚		是的 阿曼
是的	孟加拉国		是的 巴基斯坦
是的	巴西		是的 葡萄牙
是的	加拿大		是的 俄罗斯
是的	中国		是的 塞尔维亚
是的	哥伦比亚		是的 南非
是的	丹麦		是的 韩国
是的	多米尼加共和国		是的 西班牙
是的	法国		是的 瑞典
是的	印度		是的 乌克兰
是的	印度尼西亚		是的 英国
是的	以色列		

可提供 lonafarnib 管制下获得药物计划的国家*	
比利时	菲律宾
埃及	波兰
德国	沙特阿拉伯
伊拉克	台湾
意大利	土耳其
日本	

*尚不清楚在这些国家提供管制下获得药物计划的确切时间。如果您/您的孩子来自这些国家之一且您/您的孩子有兴趣参加 lonafarnib 管制下获得药物计划，请联系 Progeria 研究基金会。

将 无法 提供 lonafarnib 管制下获得药物计划的国家**	
洪都拉斯	塔吉克斯坦
利比亚	坦桑尼亚
尼泊尔	多哥
巴勒斯坦加沙地带	
斯里兰卡	
苏里南	

**这可能并非一个全面的列表。如果您/您的孩子来自这些国家中的一个国家并且想获得治疗早年衰老综合症或早衰样核纤层蛋白病的 lonafarnib, 请联系 Progeria 研究基金会。

附录 B

纳入和排除标准

本节包含医学语言，其主要目的是为了让您能够与您/您孩子的当地医生交流。

入选标准

患者必须符合以下所有入选标准，才有资格进入该计划。

1. 有资质的医生做出的早年衰老综合症或早衰样核纤层蛋白病的临床诊断（基于 Gordon 等人 2015 年和 Meredith 等人 2008 年中描述的常见表型）。最好是通过基因检测进行确认，但不强求这样做。
2. 患者年满 12 个月
3. 患者必须按照 SGPT (ALT) 和 SGOT (AST) \leq 该年龄正常范围上限 5 倍的界定具有足够的肝功能
4. 在进行任何计划程序之前，必须获得父母或监护人签名的知情同意书/同意书

排除标准

符合以下任一标准的患者将被排除在该计划之外：

1. 患者不得服用已知为中等强度或强效 CYP3A4 诱导剂或抑制剂或敏感性 CYP3A 底物的药物或食物（清单与知情同意书一起提供）。
2. 患者不得服用地高辛（地高辛是一种 P-gp 底物，治疗窗口窄）。
3. 患者不得有不受控制的感染。
4. 患者不得有明显的肝功能异常。
5. 患者不得有主治医生认为其将妨碍他们安全参与该计划的活动性临床相关医学病症。
6. 患者不得有已知或疑似对配方中任何赋形剂的过敏症。
7. 患者在接受治疗时不得怀孕或哺乳或计划怀孕。