

लोनाफार्निब प्रबंधित पहुँच कार्यक्रम
(Lonafarnib Managed Access Program, MAP)

रोगियों, देखभालकर्ताओं और डॉक्टरों के लिए

सूचना, प्रश्न और उत्तर

जून 2019

लोनाफार्निब (lonafarnib) दवा की विनिर्माता, Eiger BioPharmaceuticals प्रबंधित पहुँच कार्यक्रम (Managed Access Program, MAP) का प्रायोजन कर रही है। इस MAP का प्रायोजन हचिन्सन-गिलफोर्ड प्रोजेरिया सिंड्रोम (Hutchinson-Gilford Progeria Syndrome, HGPS या प्रोजेरिया) या प्रोजेरोइड लेमिनोपैथी (Progeroid Laminopathy, PL) से पीड़ित पाल रोगियों को लोनाफार्निब से उपचार के लिए पहुँच प्रदान करना है। प्रबंधित पहुँच कार्यक्रम 3 श्रेणियों में पाल HGPS और PL रोगियों को लोनाफार्निब प्रदान करेगा:

1) ऐसे रोगी जिन्होंने पहले कभी लोनाफार्निब नहीं ली है;

2) ऐसे रोगी जिन्होंने पहले लोनाफार्निब ली है लेकिन इस समय लोनाफार्निब नहीं ले रहे हैं;

3) ऐसे रोगी जो नैदानिक परीक्षण के भाग के रूप में लोनाफार्निब लेते रहे हैं और नैदानिक परीक्षण में उनकी भागीदारी पूरी हो जाने पर लोनाफार्निब उपचार जारी रखना चाहेंगे। यदि आप/आपका बच्चा फिलहाल बोस्टन चिल्ड्रन्स हॉस्पिटल में परीक्षण में भाग ले रहे हैं और आप/आपका बच्चा उस अध्ययन का हिस्सा है जिसमें एवरोलिमस (everolimus) दवा शामिल है, तो आपके पास परीक्षण समाप्त हो जाने के बाद MAP के माध्यम से लोनाफार्निब लेने का अवसर होगा। यदि आप/आपका बच्चा बोस्टन चिल्ड्रन्स हॉस्पिटल (Boston Children's Hospital) परीक्षण के विस्तारित अध्ययन में है और फिलहाल केवल लोनाफार्निब ले रहे हैं तो आप/आपका बच्चा परिवर्तित होकर MAP पर जाएंगे। इस परिवर्तन की योजना ध्यानपूर्वक बनाई जाएगी ताकि दवा की आपूर्ति निरंतर होती रहे।

लोनाफार्निब को फिलहाल हचिन्सन-गिलफोर्ड प्रोजेरिया सिंड्रोम (Hutchinson-Gilford Progeria Syndrome) और प्रोजेरोइड लेमिनोपैथीज़ (Progeroid Laminopathies) के लिए अन्वेषणात्मक उपचार माना जाता है। इस संप्रेषण को लिखे जाने तक, लोनाफार्निब को वाणिज्यिकरण के लिए दुनिया के किसी भी विनियामक प्राधिकारी ने अनुमोदित नहीं किया है। अन्य शब्दों में, आप अपने/अपने बच्चे के डॉक्टर से नुस्खे के साथ किसी स्थानीय फार्मसी पर नहीं जा सकते और उत्पाद प्राप्त नहीं कर सकते।

किसी ऐसे देश में रहने वाले HGPS और PL के उन पाल रोगियों के लिए जहाँ लोनाफार्निब MAP दिए जाने की अनुमति है, वहाँ यह तब तक दवा तक पहुँचने का एकमात्र साधन होगा जब तक कि आप/आपका बच्चा बोस्टन चिल्ड्रन्स हॉस्पिटल के उस अध्ययन में भाग ले रहे हैं जिसमें लोनाफार्निब शामिल है। लोनाफार्निब MAP तब तक चलता रहेगा जब तक कि HGPS और PLs के लिए लोनाफार्निब की वाणिज्यिक आपूर्ति आपके देश में उपलब्ध न हो जाए। यदि इसमें बदलाव होगा, तो सारे MAP प्रतिभागियों को सूचित किया जाएगा।

बाद वाले पन्नों में प्रश्नों और उत्तरों की एक सूची और परिशिष्ट A और B शामिल हैं।

प्रश्न और उत्तर

1. प्रबंधित पहुँच कार्यक्रम (Managed Access Program, MAP) क्या है?

- प्रबंधित पहुँच कार्यक्रम जानलेवा स्थिति वाले पाल रोगी को उस दवा तक पहुँच प्रदान करता है जिसे अभी तक वाणिज्यिक बिक्री के लिए उनके देश के विनियामक प्राधिकरण द्वारा अनुमोदित नहीं किया गया है।

2. लोनाफार्निब प्रबंधित पहुँच कार्यक्रम के लिए विचार किए जाने के लिए मुझे क्या करने की जरूरत है?

- लोनाफार्निब MAP में भाग लेने की इच्छा रखने वाले सारे रोगियों के पास एक ऐसा स्थानीय डॉक्टर अवश्य होना चाहिए जो कार्यक्रम की अपेक्षाओं को पूरा करने का इच्छुक हो।
- चूंकि लोनाफार्निब एक अन्वेषणात्मक दवा उत्पाद है, इसलिए यह बहुत महत्वपूर्ण है कि प्रत्येक रोगी का डॉक्टर यह समझता हो कि HGPS या प्रोजेरोइड लेमिनोपैथी से पीड़ित रोगियों के उपचार के लिए लोनाफार्निब का इस्तेमाल कैसे करना है। उपचार करने वाले डॉक्टर के लोनाफार्निब MAP में नामांकन करने पर उसे महत्वपूर्ण जानकारी प्रदान की जाएगी।
- Eiger BioPharmaceuticals एक Clinigen नाम की बेहद अनुभवी कंपनी का इस्तेमाल कर रही है ताकि आप/आपके बच्चे को बदलाव करके MAP तक ले जाने के लिए आपके स्थानीय डॉक्टर की मदद की जा सके। Clinigen निरंतर आधार पर कार्यक्रम की निगरानी भी करेगी।
- डॉक्टर स्वयं को और आप/आपके बच्चे को Clinigen में पंजीकृत कराने के लिए जिम्मेदार है। पंजीकरण स्थानीय डॉक्टर द्वारा अवश्य पूरा किया जाना चाहिए। यह Clinigen से संपर्क करके पूरा किया जाता है। परिवार/रोगी स्वयं पंजीकरण नहीं कर सकते।
- उपचार करने वाला डॉक्टर सुनिश्चित करता है कि Clinigen के पास सारी उपयुक्त और आवश्यक जानकारी मौजूद रहे ताकि लोनाफार्निब को सही तरीके से वितरित किया जा सके।
- डॉक्टर द्वारा सफल नामांकन और यह सुनिश्चित करने के बाद कि रोगी कार्यक्रम के मानदंड को पूरा करता है, उपचार करने वाला डॉक्टर Clinigen से बच्चे की लोनाफार्निब का ऑर्डर करता है।
- लोनाफार्निब स्थानीय डॉक्टर के कार्यालय या अस्पताल/क्लिनिक फार्मसी को दी जाती है। रोगी की लोनाफार्निब की आपूर्ति समाप्त होने से 6 सप्ताह पहले उपचार करने वाले डॉक्टर द्वारा लोनाफार्निब का ऑर्डर दिया जा सकता है। दवा की आपूर्ति समाप्त होने से कम-से-कम एक महीना पहले डॉक्टर द्वारा लोनाफार्निब का ऑर्डर न दिए जाने की स्थिति में, एक अनुस्मारक (reminder) ईमेल डॉक्टर को भेजी जाएगी जिसमें उससे फिर से ऑर्डर करने को कहा जाएगा। लोनाफार्निब की प्रत्येक खेप में 4 महीने की आपूर्ति होती है। यदि इसमें बदलाव होता है, तो सारे MAP प्रतिभागियों को सूचित किया जाएगा।
- फिर डॉक्टर आपको/आपके बच्चे को दवा वितरित करेगा।
- सभी देश अपने नागरिकों को MAPs की पेशकश करने की अनुमति नहीं देते। परिशिष्ट A में देशों की सूची और उनकी लोनाफार्निब MAP स्थिति दी गई है। जिस देश में आप/आपका बच्चा रहता है, यदि वह देश सूचीबद्ध नहीं है तो MAP इसके बावजूद भी संभव हो सकता है। इस स्थिति में, कृपया द प्रोजेरिया रिसर्च फाउंडेशन (The Progeria Research Foundation) से 978-535-2594 पर संपर्क करें या info@progeriaresearch.org पर ईमेल करें। इसके विपरीत, उपचार करने वाला डॉक्टर Clinigen की मेडिसिन एक्सेस टीम (Clinigen's Medicine Access Team) से +44 (0) 1932 824123 पर या medicineaccess@clinigengroup.com पर ईमेल से संपर्क कर सकता है।

3. प्रबंधित पहुँच कार्यक्रम में पालता के लिए क्या अपेक्षा की जाती है?

MAP के लिए पाल होने के वास्ते, आपको/आपके बच्चे को कम-से-कम 12 माह का होना चाहिए और निम्नलिखित सारे मानदंड पूरे करने चाहिए:

1. HGPS (प्रोजेरिया) या प्रोजेरोइड लेमिनोपैथी का रोग निदान।

2. यह सुनिश्चित करने के लिए रक्त परीक्षण कि आप/आपके बच्चे के जिगर और गुर्दे लोनाफार्निब को सही प्रकार से प्रोसेस कर सकते हैं।
3. कोई भी ऐसा अनियंत्रित संक्रमण या अन्य गंभीर चिकित्सीय रोग न हो जो MAP में भाग लेना आपके/आपके बच्चे के लिए असुरक्षित कर सकता हो।
4. यदि आप/आपकी बच्ची महिला हैं और बच्चा पैदा करने की आयु वाली हैं, तो नकारात्मक गर्भावस्था परीक्षण।
5. जब आप/आपका बच्चा लोनाफार्निब ले रहा हो, तो उस समय कुछ दवाएं और कुछ खाद्य नहीं लिए जा सकते। आपका डॉक्टर इन पर आपसे चर्चा करेगा। लोनाफार्निब और किसी संवेदनशील CYP3A सबस्ट्रेट और तीव्र या मध्यम CYP3A इनहिबिटर्स या इनड्यूसरों का इस्तेमाल सावधानी से करने की सलाह दी जाती है। ये दवाएं लोनाफार्निब के उपापचय (metabolism) को बदल सकती हैं। इन मानदंडों में से किसी को भी पूरा करने के लिए इन दवाओं के बारे में अपने डॉक्टर से बात करें।

- a. उपचार करने वाले डॉक्टर को उन सारी दवाओं और हर्बल उपचारों के बारे में बताएं जो आप ले रहे हैं। कुछ खास दवाओं और हर्बल उपचारों को CYP3A इनहिबिटर्स या इनड्यूसरों के रूप में वर्गीकृत किया जा सकता है। इसका अर्थ है कि वे लोनाफार्निब के उपापचय (metabolism) को बदल सकती हैं। लोनाफार्निब लेने वाले लोगों को उन हर्बल उपचारों, दवाओं और खाद्यों (चकोतरे का जूस और सेविले संतरे) का इस्तेमाल बंद कर देना चाहिए जो CYP3A के इनहिबिटर या इनड्यूसर हैं।

परिशिष्ट B में MAP में शामिल किए जाने और बाहर किए जाने के सारे मानदंड सम्मिलित हैं। उपचार करने वाला डॉक्टर मानदंड के दोनों सेट देखने की इच्छा जताएगा।

4. प्रबंधित पहुँच कार्यक्रम के भाग के रूप में किसी रोगी का लोनाफार्निब से उपचार कितने समय तक किया जा सकता है?

- Eiger तब तक Clinigen के माध्यम से आपको लोनाफार्निब तक पहुँच प्रदान करना जारी रखेगी जब तक कि आप उपचार बंद करने का निर्णय न ले लें या जब तक लोनाफार्निब आपके देश में अनुमोदित और वाणिज्यिक रूप से उपलब्ध न हो जाए। इसके वाणिज्यिक रूप से उपलब्ध हो जाने के बाद, आप अपने/अपने बच्चे के उपचार करने वाला डॉक्टर से नुस्खा लेकर लोनाफार्निब हासिल कर सकेंगे।

5. मुझे कार्यक्रम के दौरान लोनाफार्निब लेने के लिए कितनी बार अपने डॉक्टर के पास जाना होगा?

- आप या आपके देखभालकर्ता को कम-से-कम प्रत्येक 4 माह पर उपचार करने वाला डॉक्टर से लोनाफार्निब लेने की योजना बनानी चाहिए।

6. MAP के लिए सफलतापूर्वक पंजीकृत हो जाने के बाद, मैं लोनाफार्निब के रिफिल लेना जारी कैसे रखूँ?

- उपचार करने वाला डॉक्टर Clinigen द्वारा पेश की गई ऑनलाइन प्रणाली के माध्यम से लोनाफार्निब का ऑर्डर देगा। लोनाफार्निब आपके डॉक्टर को भेजी जाएगी और आप/आपका देखभालकर्ता सामान्य रूप से उसके कार्यालय से इसे ले सकता है।

7. मेरा चिकित्सक MAP के लिए कैसे पंजीकरण कराता है?

- आपका उपचार करने वाला डॉक्टर Clinigen को +44 (0) 1932 824123 पर कॉल करके या medicineaccess@clinigengroup.com पर ईमेल से संपर्क करके MAP के लिए पंजीकरण कराएगा। आपका उपचार करने वाला डॉक्टर एकमात्र वह व्यक्ति है जो MAP के लिए आपको पंजीकृत कर सकता है। रोगियों या देखभालकर्ताओं को MAP के लिए पंजीकरण के संबंध में Clinigen से संपर्क नहीं करना चाहिए।

8. लोनाफार्निब से जुड़े दुष्प्रभावों से संबंधित सूचना के लिए या यदि लोनाफार्निब लेने के दौरान मेरे कोई प्रश्न हों, तो कौन सहायता करेगा?

- आपका उपचार करने वाला डॉक्टर आपके दुष्प्रभावों का प्रबंधन करेगा। यदि आपके डॉक्टर के कोई प्रश्न हैं, तो वह ProgeriaMA@eigerbio.com को ईमेल भेजकर Eiger के चिकित्सीय मामलों के विभाग (Eiger's Medical Affairs department) से संपर्क कर सकता है। आपके डॉक्टर से ईमेल में अपनी संपर्क जानकारी प्रदान करने को कहा जाता है। यदि प्रश्न/नों के उत्तर ईमेल से न दिए जा सकते हों, तो इससे Eiger कॉल कर पाएगी।

9. किसी गंभीर प्रतिकूल घटना (Serious Adverse Event) की स्थिति में, किससे संपर्क किया जाना चाहिए?

- रोगी और डॉक्टर की यह जिम्मेदारी बनी रहती है कि वे स्थानीय स्वास्थ्य प्राधिकरण की अपेक्षाओं के अनुसार लोनाफार्निब के इस्तेमाल से संबंधित गंभीर प्रतिकूल घटनाओं की रिपोर्ट करें।
- Novella वह कंपनी है जो MAP के लिए सारी सुरक्षा रिपोर्टिंग सेवाएं प्रदान करती है। इसलिए, गंभीर प्रतिकूल घटनाओं (SAEs) की रिपोर्ट Cliniport प्रणाली पर उपलब्ध Novella SAE रिपोर्ट फॉर्म का इस्तेमाल करते हुए की जानी चाहिए। डॉक्टर Cliniport प्रणाली के भीतर शामिल किए गए वैश्विक फोन नंबरों की डायरेक्टरी का इस्तेमाल करते हुए सीधे Novella को भी कॉल कर सकते हैं।
- किसी भी प्रकार की प्रतिकूल घटना की रिपोर्ट Clinigen को नहीं की जानी चाहिए।

10. यदि लोनाफार्निब प्रबंधित पहुँच कार्यक्रम के बारे में मेरे कुछ अतिरिक्त प्रश्न हों, तो मुझे किससे बात करनी चाहिए?

- रोगियों या देखभालकर्ताओं को हमेशा अपने डॉक्टरों से प्रश्न पूछकर शुरुआत करनी चाहिए। यदि आप/आपके बच्चे का डॉक्टर प्रश्नों के उत्तर नहीं दे सकता, तो उस स्थिति में डॉक्टर Clinigen की मेडिसिन ऐक्सेस टीम (Clinigen's Medicine Access Team) से +44 (0) 1932 824123 पर या medicineaccess@clinigengroup.com पर ईमेल से संपर्क कर सकता है। डॉक्टर Eiger को ProgeriaMA@eigerbio.com पर ईमेल भी भेज सकता है। रोगियों या देखभालकर्ताओं को Clinigen से संपर्क नहीं करना चाहिए। इसकी बजाय, रोगियों और देखभालकर्ताओं को केवल द प्रोजेरिया रिसर्च फाउंडेशन (The Progeria Research Foundation) से 978-535-2594 पर या info@progeriaresearch.org को ईमेल भेजकर संपर्क करना चाहिए।

परिशिष्ट A

देश प्रबंधित पहुँच कार्यक्रम स्थिति (Country Managed Access Program Status)

यदि आपकी दिलचस्पी वाला देश इनमें से किसी सूची में नहीं है तो कृपया द प्रोजेरिया रिसर्च फाउंडेशन (The Progeria Research Foundation) से 978-535-2594 पर या info@progeriaresearch.org को ईमेल भेजकर संपर्क करें।

लोनाफार्निब MAP उपलब्धता वाले देश जून 2019			
हाँ	अमेरिका	हाँ	कज़ाखस्तान
हाँ	अल्जीरिया	हाँ	मेक्सिको
हाँ	अर्जेंटीना	हाँ	नामिबिया
हाँ	ऑस्ट्रेलिया	हाँ	ओमान
हाँ	बांग्लादेश	हाँ	पाकिस्तान
हाँ	ब्राज़ील	हाँ	पुर्तगाल
हाँ	कनाडा	हाँ	रूस
हाँ	चीन	हाँ	सर्बिया
हाँ	कोलंबिया	हाँ	दक्षिण अफ्रीका
हाँ	डेनमार्क	हाँ	दक्षिण कोरिया
हाँ	डोमिनिकन गणराज्य	हाँ	स्पेन
हाँ	फ्रांस	हाँ	स्वीडन
हाँ	भारत	हाँ	यूक्रेन
हाँ	इंडोनेशिया	हाँ	युनाइटेड किंगडम
हाँ	इसरायल		

वे देश जहाँ लोनाफार्निब MAP उपलब्ध होगा*	
बेल्जियम	फिलीपीन
मिस्र	पोलैंड
जर्मनी	सऊदी अरब
इराक	ताइवान
इटली	तुर्की
जापान	

*इन देशों में MAP उपलब्धता का निश्चित समय पता नहीं है। यदि आप/आपका बच्चा इन देशों में से किसी एक देश से हैं और आप/आपका बच्चा लोनाफार्निब MAP में भाग लेने में दिलचस्पी रखते हैं, तो कृपया द प्रोजेरिया रिसर्च फाउंडेशन (The Progeria Research Foundation) से संपर्क करें।

वे देश जहाँ लोनाफार्निब MAP उपलब्ध नहीं होगा**	
हाँडुरास	तजाकिस्तान
लीबिया	तंजानिया
नेपाल	टोगो
फिलीस्तीन-गाज़ा	
श्री लंका	
सूरीनाम	

**हो सकता है कि यह संपूर्ण सूची न हो। यदि आप/आपका बच्चा इन देशों में से किसी एक देश से हैं और HGPS या PLS के लिए लोनाफार्निब तक पहुँच चाहते हैं, तो कृपया द प्रोजेरिया रिसर्च फाउंडेशन (The Progeria Research Foundation) से संपर्क करें।

परिशिष्ट B

शामिल किए जाने और बाहर किए जाने के मानदंड

इस खंड में चिकित्सा भाषा शामिल है और प्राथमिक रूप से इसका उद्देश्य यह है कि आप अपने/अपने बच्चे के स्थानीय डॉक्टर के साथ संप्रेषण कर सकें।

शामिल करने से संबंधित मानदंड

रोगियों को इस कार्यक्रम में नामांकन के लिए पाल होने के वास्ते शामिल करने से संबंधित निम्नलिखित मापदंड को पूरा करना होगा।

1. किसी योग्यताप्राप्त मेडिकल डॉक्टर द्वारा HGPS या प्रोजेरोइड लेमिनोपैथी का नैदानिक रोगनिदान (सामान्य फेनोटाइप के आधार पर जैसा कि Gordon et al, 2015 और Meredith et al, 2008 में वर्णन किया गया है)। आनुवंशिक परीक्षण से पुष्टि की वरीयता दी जाती है लेकिन अपेक्षित नहीं है।
2. रोगी की आयु 12 महीने से अधिक हो।
3. रोगियों का पर्याप्त हेपेटिक फंक्शन अवश्य होना चाहिए जैसा कि SGPT (ALT) और SGOT (AST) द्वारा परिभाषित किया गया है - आयु की सामान्य श्रेणी की ऊपरी सीमा से ≤ 5 गुना
4. हस्ताक्षर की गई सूचित सहमति/माता/पिता (माता-पिता) या संरक्षक(कों) की स्वीकृति किसी भी कार्यक्रम कार्यविधि से पहले अवश्य हासिल की जाना चाहिए

बाहर किए जाने से संबंधित मापदंड

निम्नलिखित में से किसी भी मानदंड को पूरा करने वाले रोगियों को इस कार्यक्रम से बाहर कर दिया जाएगा:

1. रोगियों को ऐसी दवाएं या खाद्य नहीं लेना चाहिए जो CYP3A4 या संवेदनशील CYP3A सबस्ट्रेट के मध्यम या तीव्र इनड्यूसर या इन्हिबिटर के रूप में जाने जाते हैं (सूची सूचित सहमति के साथ प्रदान की जाती है)।
2. रोगी मामूली थेराप्यूटिक विंडों के साथ डाइजॉक्सिन (digoxin), P-gp सबस्ट्रेट कतई न ले रहे हों।
3. रोगी को कोई अनियंत्रित संक्रमण कतई नहीं होना चाहिए।
4. रोगियों में जिगर की कोई प्रकट खराबी कतई नहीं होनी चाहिए।
5. रोगियों की कोई ऐसी सक्रिय नैदानिक रूप से संगत चिकित्सा स्थिति कतई नहीं होनी चाहिए जो उपचार करने वाला डॉक्टर की राय में इस कार्यक्रम में उनके सुरक्षित रूप से भाग लेने में बाधा डालेगी।
6. रोगियों को फार्मूलेशन में शामिल किसी भी असक्रिय पदार्थ (excipient) के प्रति कोई ज्ञात या संदिग्ध हाइपरसेंसिबिलिटी कतई नहीं होनी चाहिए।
7. रोगियों को थैरपी के दौरान कतई गर्भवती नहीं होना चाहिए या स्तनपान नहीं कराना चाहिए या गर्भधारण करने की योजना नहीं बनानी चाहिए।