

Program Akses Terkelola (Managed Access Program, MAP) Lonafarnib
Informasi, Pertanyaan, dan Jawaban untuk
Pasien, Pemberi Asuhan, dan Dokter
Juni 2019

Eiger BioPharmaceuticals, produsen obat lonafarnib, mensponsori Program Akses Terkelola (MAP). Tujuan dari program MAP ini adalah memungkinkan pasien penderita Sindrom Progeria Hutchinson-Gilford (HGPS atau Progeria) atau Progeroid Laminopati (PL) untuk mendapatkan akses pengobatan menggunakan lonafarnib. Program Akses Terkelola akan menyediakan lonafarnib kepada pasien HGPS dan PL yang memenuhi syarat dalam 3 kategori:

1) pasien yang belum pernah meminum lonafarnib sebelumnya;

2) pasien yang telah meminum lonafarnib sebelumnya tetapi saat ini tidak meminum lonafarnib;

3) pasien yang telah meminum lonafarnib sebagai bagian dari uji klinis dan ingin melanjutkan pengobatan dengan lonafarnib setelah menyelesaikan partisipasi mereka dalam uji klinis. Jika Anda/anak Anda saat ini berpartisipasi dalam uji klinis di Rumah Sakit Anak Boston dan Anda/anak Anda berpartisipasi dalam studi yang melibatkan obat everolimus, maka Anda akan berkesempatan untuk menerima obat lonafarnib melalui MAP setelah uji klinis selesai. Jika Anda/anak Anda sedang terlibat dalam studi ekstensi dalam uji klinis yang diselenggarakan Rumah Sakit Anak Boston, dan saat ini HANYA meminum lonafarnib, maka Anda/anak Anda akan bertransisi ke MAP. Transisi akan direncanakan dengan saksama sehingga pasokan obat akan tetap konsisten.

Lonafarnib saat ini dianggap sebagai pengobatan yang diteliti untuk Sindrom Progeria Hutchinson-Gilford dan Progeroid Laminopati. Saat komunikasi ini dituliskan, lonafarnib masih belum disetujui oleh otoritas regulatori mana pun di dunia untuk tujuan komersialisasi. Dengan kata lain, Anda tidak dapat pergi ke apotik dengan membawa resep dari dokter Anda/anak Anda untuk mendapatkan produk tersebut.

Untuk pasien HGPS dan PL yang memenuhi syarat yang berdomisili di negara yang mengizinkan penawaran MAP lonafarnib kepada pasien, maka program tersebut akan menjadi satu-satunya cara untuk mengakses obat, kecuali jika Anda/anak Anda masih berpartisipasi dalam studi di Rumah Sakit Anak Boston yang melibatkan lonafarnib. MAP lonafarnib akan tetap beroperasi hingga pasokan komersial lonafarnib untuk HGPS dan PL tersedia di negara Anda. Jika terdapat perubahan, maka semua peserta MAP akan diberi tahu.

Halaman selanjutnya memuat daftar Pertanyaan dan Jawaban serta Lampiran A dan B.

Pertanyaan dan Jawaban

1. Apa yang dimaksud dengan Program Akses Terkelola (MAP)?

- Sebuah program akses terkelola memungkinkan pasien dengan penyakit mengancam jiwa yang memenuhi syarat untuk dapat mengakses obat yang belum disetujui untuk dijual secara komersial oleh otoritas regulatori di negara mereka.

2. Apa yang harus saya lakukan agar dipertimbangkan untuk mengikuti Program Akses Terkelola Lonafarnib?

- Semua pasien yang ingin berpartisipasi dalam MAP Lonafarnib harus memiliki dokter lokal yang bersedia untuk memenuhi persyaratan program.
- Karena lonafarnib adalah produk obat penelitian, maka sangat penting agar dokter masing-masing pasien memahami cara menggunakan lonafarnib dalam mengobati pasien yang menderita HGPS atau Progeroid Laminopati. Informasi penting akan diberikan kepada dokter yang mengobati terkait keikutsertaan mereka dalam MAP Lonafarnib.
- Eiger BioPharmaceuticals menggunakan perusahaan yang sangat berpengalaman yakni Clinigen untuk membantu dokter lokal Anda dalam mentransisi Anda/anak Anda ke dalam program MAP. Clinigen juga akan mengawasi program secara berkelanjutan.
- Dokter bertanggung jawab untuk mendaftarkan diri mereka dan Anda/anak Anda di Clinigen. Pendaftaran harus dilengkapi oleh dokter lokal. Hal ini dilakukan dengan menghubungi Clinigen. Keluarga/orang tua tidak dapat mendaftarkan diri mereka sendiri.
- Dokter yang mengobati memastikan bahwa Clinigen memiliki semua informasi yang sesuai yang diperlukan sehingga lonafarnib dapat diberikan dengan tepat.
- Setelah dokter berhasil mendaftarkan dan memastikan bahwa pasien memenuhi kriteria program, dokter yang mengobati akan memesan lonafarnib bagi anak yang dimaksud kepada Clinigen.
- Lonafarnib dikirimkan ke kantor dokter lokal atau apotek di rumah sakit/klinik. Lonafarnib dapat dipesan oleh dokter yang mengobati 6 minggu sebelum persediaan lonafarnib milik pasien habis. Apabila dokter belum memesan lonafarnib setidaknya satu bulan sebelum persediaan obat diperkirakan habis, email pengingat akan dikirimkan kepada dokter agar melakukan pemesanan ulang. Setiap pengiriman lonafarnib berisi persediaan obat untuk 4 bulan. Jika terdapat perubahan, maka semua peserta MAP akan diberi tahu.
- Dokter kemudian akan menyerahkan obat tersebut kepada Anda/anak Anda.
- Tidak semua negara mengizinkan MAP untuk ditawarkan kepada warga negara mereka. Lampiran A menampilkan daftar negara dan status MAP Lonafarnib mereka. Jika negara domisili Anda/anak Anda tidak tercantum, maka MAP masih mungkin untuk ditawarkan. Dalam situasi ini, silakan hubungi The Progeria Research Foundation melalui nomor telepon 978-535-2594 atau melalui alamat email info@progeriaresearch.org. Atau dokter yang mengobati dapat menghubungi Tim Akses Obat Clinigen melalui nomor telepon +44 (0) 1932 824123 atau melalui alamat email medicineaccess@clinigengroup.com.

3. Apa yang diperlukan agar memenuhi syarat untuk mengikuti Program Akses Terkelola?

Agar memenuhi syarat untuk mengikuti MAP, Anda/anak Anda harus berusia setidaknya 12 bulan dan memenuhi semua kriteria berikut ini:

1. Didiagnosis HGPS (Progeria) atau Progeroid Laminopati.
2. Tes darah untuk memastikan bahwa hati dan ginjal Anda/anak Anda dapat memproses lonafarnib dengan baik.
3. Tidak ada infeksi yang tidak terkontrol atau penyakit medis serius lainnya yang dapat mengganggu keselamatan Anda/anak Anda untuk berpartisipasi di dalam program MAP.
4. Hasil tes kehamilan negatif jika Anda/anak Anda berjenis kelamin perempuan dan berada dalam usia produktif.
5. Beberapa jenis obat dan makanan tidak dapat dikonsumsi selama Anda/anak Anda minum lonafarnib. Dokter akan mendiskusikan hal ini bersama Anda. Disarankan untuk berhati-hati saat menggunakan lonafarnib bersama substrat CYP3A sensitif apa pun dan penghambat atau penginduksi CYP3A kuat atau sedang. Modifikasi ini dapat mengubah metabolisme lonafarnib. Konsultasikan dengan dokter Anda tentang obat-obatan yang memenuhi kriteria ini.
 - a. Kemukakan kepada dokter yang mengobati perihal semua obat dan pengobatan herbal yang Anda minum. Obat-obatan dan pengobatan herbal tertentu dapat diklasifikasikan sebagai penghambat atau penginduksi CYP3A. Artinya obat-obatan tersebut dapat mengubah metabolisme lonafarnib. Orang yang minum lonafarnib harus menghentikan penggunaan pengobatan herbal, obat-obatan, dan makanan (jus grapefruit dan jeruk Seville) yang menghambat atau menginduksi CYP3A.

Lampiran B mencakup kriteria lengkap Inklusi dan Eksklusi MAP. Dokter yang mengobati perlu melihat kedua set kriteria tersebut.

4. Berapa lama pasien dapat diobati dengan lonafarnib sebagai bagian dari Program Akses Terkelola?

- Eiger akan terus memberikan akses ke lonafarnib melalui Clinigen hingga Anda memutuskan untuk menghentikan pengobatan atau hingga lonafarnib disetujui dan tersedia secara komersial di negara Anda. Setelah tersedia secara komersial, maka Anda bisa memperoleh lonafarnib melalui resep yang diberikan oleh dokter yang mengobati Anda/anak Anda.

5. Seberapa sering saya harus mengunjungi dokter untuk mengambil lonafarnib selama program berlangsung?

- Anda atau pemberi asuhan Anda harus merencanakan untuk mengambil lonafarnib dari dokter yang mengobati setidaknya setiap 4 bulan.

6. Setelah berhasil didaftarkan untuk mengikuti MAP, bagaimana saya bisa terus mendapatkan persediaan lonafarnib?

- Dokter yang mengobati akan melakukan pemesanan lonafarnib melalui sistem online yang disediakan oleh Clinigen. Lonafarnib akan dikirimkan kepada dokter Anda dan biasanya dapat diambil oleh Anda/pemberi asuhan Anda di kantor mereka.

7. Bagaimana cara dokter saya mendaftarkan ke MAP?

- Dokter yang mengobati Anda akan mendaftarkan ke MAP dengan menghubungi Clinigen melalui nomor telepon +44 (0) 1932 824123 atau melalui alamat email medicineaccess@clinigengroup.com. Dokter yang mengobati Anda adalah satu-satunya orang yang dapat mendaftarkan Anda untuk mengikuti MAP. Pasien atau pemberi asuhan **tidak dapat** menghubungi Clinigen berkenaan dengan pendaftaran MAP.

8. Siapa yang dapat memberikan informasi mengenai efek samping yang terkait dengan lonafarnib atau jika saya memiliki pertanyaan selama meminum lonafarnib?

- Dokter yang mengobati Anda akan menangani efek samping Anda. Jika Anda memiliki pertanyaan apa pun, mereka dapat menghubungi departemen Urusan Medis Eiger dengan mengirimkan email ke ProgeriaMA@eigerbio.com. Dokter Anda diminta untuk memberikan informasi kontak mereka di dalam email. Dengan demikian Eiger dapat menghubungi jika pertanyaan tidak dapat dijawab melalui email.

9. Jika terjadi Kejadian Tidak Diinginkan yang Serius, siapa yang harus dihubungi?

- Pasien dan dokter bertanggung jawab untuk melaporkan Kejadian Tidak Diinginkan yang Serius yang berkaitan dengan penggunaan lonafarnib sesuai dengan persyaratan otoritas kesehatan setempat.
- Novella adalah perusahaan yang menyediakan semua layanan pelaporan keamanan untuk MAP. Dengan demikian, Kejadian Tidak Diinginkan yang Serius (SAE) harus dilaporkan dengan menggunakan formulir laporan SAE Novella yang tersedia di sistem Cliniport. Dokter juga dapat menghubungi Novella secara langsung dengan menggunakan direktori nomor telepon global yang disertakan dalam sistem Cliniport.
- Setiap jenis kejadian tidak diinginkan **TIDAK BOLEH** dilaporkan kepada Clinigen.

10. Siapa yang bisa saya hubungi jika saya memiliki pertanyaan tambahan mengenai Program Akses Terkelola lonafarnib?

- Pasien atau pemberi asuhan harus selalu memulai dengan mengajukan pertanyaan kepada dokter mereka. Jika dokter Anda/anak Anda tidak dapat menjawab pertanyaan, dokter

dapat menghubungi Tim Akses Obat Clinigen melalui nomor telepon +44 (0) 1932 824123 atau melalui alamat email medicineaccess@clinigengroup.com. Dokter juga dapat mengirimkan email kepada Eiger melalui alamat email ProgeriaMA@eigerbio.com. Pasien atau pemberi asuhan **tidak boleh** menghubungi Clinigen. Sebaliknya, pasien dan pemberi asuhan hanya dapat menghubungi The Progeria Research Foundation melalui nomor telepon 978-535-2594 atau dengan mengirimkan email ke info@progeriaresearch.org.

Lampiran A

Status Program Akses Terkelola di Beberapa Negara

Jika negara yang Anda maksud tidak tercantum pada daftar ini, silakan hubungi The Progeria Research Foundation melalui nomor telepon 978-535-2594 atau dengan mengirimkan email ke info@progeriaresearch.org.

Negara-negara dengan MAP Lonafarnib yang Tersedia pada bulan Juni 2019				
Ya	Amerika Serikat		Ya	Kazakhstan
Ya	Aljazair		Ya	Meksiko
Ya	Argentina		Ya	Namibia
Ya	Australia		Ya	Oman
Ya	Bangladesh		Ya	Pakistan
Ya	Brasil		Ya	Portugal
Ya	Kanada		Ya	Rusia
Ya	Tiongkok		Ya	Serbia
Ya	Kolombia		Ya	Afrika Selatan
Ya	Denmark		Ya	Korea Selatan
Ya	Republik Dominika		Ya	Spanyol
Ya	Prancis		Ya	Swedia
Ya	India		Ya	Ukraina
Ya	Indonesia		Ya	Britania Raya
Ya	Israel			

Negara-negara yang Akan Menyediakan MAP Lonafarnib*			
Belgia			Filipina
Mesir			Polandia
Jerman			Arab Saudi
Irak			Taiwan
Italia			Turki
Jepang			

*Waktu yang tepat terkait ketersediaan MAP di negara-negara ini masih belum diketahui. Jika Anda/anak Anda berasal dari salah satu negara ini dan Anda/anak Anda tertarik untuk berpartisipasi dalam program MAP lonafarnib, silakan hubungi The Progeria Research Foundation.

Negara-negara yang TIDAK akan Menyediakan MAP Lonafarnib**			
Honduras			Tajikistan
Libya			Tanzania
Nepal			Togo
Palestina-Gaza			
Sri Lanka			
Suriname			

**Daftar ini bisa jadi masih belum lengkap. Jika Anda/anak Anda berasal dari salah satu negara ini dan menginginkan untuk dapat mengakses lonafarnib untuk mengobati HGPS atau PL, silakan hubungi The Progeria Research Foundation.

Lampiran B

Kriteria Inklusi dan Eksklusi

Bagian ini memuat bahasa medis dan ditujukan terutama agar Anda dapat berkomunikasi dengan dokter lokal Anda/anak Anda.

Kriteria Inklusi

Pasien harus memenuhi semua kriteria inklusi berikut ini agar memenuhi syarat untuk ikut serta dalam program ini.

1. Diagnosis klinis HGPS atau progeroid laminopati oleh dokter yang berkualifikasi (berdasarkan fenotipe umum sebagaimana diuraikan dalam Gordon et al, 2015 dan Meredith et al, 2008). Konfirmasi dengan uji genetika lebih diutamakan tetapi tidak wajib.
2. Pasien berusia lebih dari 12 bulan
3. Pasien harus memiliki fungsi hati yang memadai sebagaimana ditentukan oleh SGPT (ALT) dan SGOT (AST) ≤ 5 kali batas atas untuk rentang normal untuk kelompok usia yang dimaksud
4. Persetujuan/izin setelah penjelasan dari orang tua/wali harus diperoleh sebelum prosedur program dilakukan

Kriteria Eksklusi

Pasien yang memenuhi kriteria **mana pun** berikut ini akan dikecualikan dari program:

1. Pasien tidak boleh mengonsumsi obat-obatan atau makanan yang diketahui merupakan penginduksi atau penghambat CYP3A4 sedang atau kuat atau merupakan substrat CYP3A sensitif (daftar disertakan bersama persetujuan setelah penjelasan).
2. Pasien tidak boleh meminum digoksin, substrat P-gp dengan jendela terapeutik sempit.
3. Pasien tidak boleh menderita infeksi yang tidak terkontrol.
4. Pasien tidak boleh menderita disfungsi hati yang jelas.
5. Pasien tidak boleh menderita kondisi medis yang relevan secara klinis yang menurut pendapat dokter yang mengobati akan menghalangi mereka untuk dapat berpartisipasi secara aman dalam program ini.
6. Pasien tidak boleh diketahui atau dicurigai menderita hipersensitivitas terhadap eksipien apa pun yang terkandung dalam formulasi ini.
7. Pasien tidak boleh sedang hamil atau menyusui atau berencana untuk hamil selama menjalani terapi.