

**Лонафарниб басқарылатын ұсыну бағдарламасы (БҰБ)  
Пациенттерге, ауруды күтушілерге және дәрігерлерге  
арналған ақпарат, сұрақтар және жауаптар**

Маусым, 2019 ж.

Басқарылатын ұсыну бағдарламасына (БҰБ) демеушілік ететін – Eiger BioPharmaceuticals компаниясы, лонафарниб препаратының өндірушісі. Бұл БҰБ-ның мақсаты — Хатчинсон-Гилфорд прогериясы синдромымен (ХГПС не прогерия) немесе прогероидті ламинопатиямен (ПЛ) ауыратын және талаптарға сай келетін пациенттердің лонафарниб препаратымен емделуіне мүмкіндік беру. Басқарылатын ұсыну бағдарламасы ХГПС және ПЛ ауруы бар және талаптарға сай пациенттердің 3 тобын лонафарниб препаратымен қамтамасыз етеді:

**1) осыған дейін лонафарниб қабылдамағандар;**

**2) осыған дейін лонафарниб қабылдаған, бірақ қазіргі уақытта лонафарниб қабылдамай жүргендер;**

**3) клиникалық сынақтың бөлігі ретінде лонафарниб қабылдаған және клиникалық сынаққа қатысып болғаннан кейін лонафарниб препаратымен емделуді жалғастырығысы келетіндер. Егер сіз/сіздің балаңыз қазіргі уақытта Бостон қаласындағы балалар ауруханасында сынаққа қатысатын болсаңыз және сіз/сіздің балаңыз зерттеудің препарат эверолимусын қамтитын бөлігінде болсаңыз, сынақ аяқталғаннан кейін сіз БҰБ арқылы лонафарниб қабылдау мүмкіндігіне ие боласыз. Егер сіз/сіздің балаңыз Бостон қаласындағы балалар ауруханасындағы кеңейтілген клиникалық сынаққа қатысатын болсаңыз, сіз/сіздің балаңыз БҰБ-ға өтесіз. Өту процесі мұқият жоспарланып, препаратпен сәйкесінше қамтамасыз етілесіз.**

Лонафарниб қазіргі уақытта Хатчинсон-Гилфорд прогериясы синдромы және прогероидті ламинопатия үшін зерттелетін ем болып саналады. Осы хабарламаны жазу сәтінде лонафарниб әлемдегі ешбір бақылаушы органның тарапынан коммерциялық мақсатта қолдануға мақұлданбаған. Басқаша айтқанда, өнімді сіздің дәрігеріңіз/балаңыздың дәрігері жазып берген рецептпен жергілікті дәріханадан сатып ала алмайсыз.

Сіз/балаңыз әлі де Бостон қаласының балалар ауруханасындағы лонафарниб препаратын қамтитын зерттеуге қатыспайтын болсаңыз, лонафарниб БҰБ-сын ұсынуға рұқсат етілген елде тұратын ХГПС және ПЛ ауруы бар және талаптарға сай келетін адамдар үшін бұл препаратқа қол жеткізудің жалғыз жолы болады. Лонафарниб БҰБ-сы ХГПС және ПЛ ауруларын емдеуге арналған лонафарниб препараты коммерциялық мақсатта қолдануға рұқсат етілгенге дейін жұмыс істейді. Бұл жағдай өзгерсе, БҰБ қатысушыларының барлығына хабар беріледі.

Кейінгі беттерде сұрақ-жауаптардың тізімі мен А және В қосымшалары берілген.

## Сұрақтар мен жауаптар

### 1. Басқарылатын ұсыну бағдарламасы (БҰБ) деген не?

- Басқарылатын ұсыну бағдарламасы өміріне қауіп төндіретін жағдайдағы және талаптарға сай пациенттердің еліндегі бақылаушы органдары тарапынан әзірге мақұлданбаған дәрі-дәрмектерге қол жеткізуіне мүмкіндік береді.

### 2. Лонафарниб басқарылатын ұсыну бағдарламасына қатысушы рөліне қарастырылу үшін не істеу керек?

- Лонафарниб БҰБ-на қатысқысы келетін барлық пациенттердің бағдарлама талаптарын орындауға дайын жергілікті дәрігері болуы керек.
- Лонафарниб зерттелетін фармацевтикалық өнім болғандықтан, ХГПС немесе прогероидті ламинопатиясы бар пациенттерді емдеуде әрбір пациент дәрігерінің лонафарниб препаратын қолдану әдісін түсінуі маңызды болып табылады. Лонафарниб БҰБ-на қосылған кезде емдеуші дәрігерге маңызды ақпарат беріледі.
- Eiger BioPharmaceuticals компаниясы жергілікті дәрігеріңіздің БҰБ-на өтуіне көмектесу үшін Clinigen атты тәжірибелі компанияның қызметін қолданады. Clinigen компаниясы сондай-ақ бағдарламаны тұрақты түрде қадағалап отырады.
- Дәрігер өзінің және сіздің/балаңыздың Clinigen компаниясында тіркелуіне жауапты болады. Тіркеуді жергілікті дәрігер аяқтауы қажет. Бұл Clinigen компаниясына хабарласу арқылы жүзеге асырылады. Отбасылар/пациенттер өздерін тіркей алмайды.
- Емдеуші дәрігер Clinigen компаниясына барлық қажетті ақпараттың берілгеніне көз жеткізіп, осылайша, лонафарниб препаратының тиісті түрде босатылуын қамтамасыз етеді.
- Дәрігер бағдарламаға қосылып, пациенттің бағдарлама талаптарына сай келуін тексеріп болғаннан кейін, емдеуші дәрігер Clinigen компаниясына балаға арналған лонафарниб препаратына тапсырыс береді.
- Лонафарниб жергілікті дәрігердің кеңсесіне немесе аурухана/клиниканың дәріханасына жеткізіледі. Пациенттегі лонафарниб қорының таусылуына 6 апта қалғанда емдеуші дәрігер лонафарниб препаратына тапсырыс бере алады. Препараттың таусылуына кем дегенде бір ай қалғанға дейін дәрігер лонафарнибке тапсырыс бермеген жағдайда, дәрігерге қайта тапсырыс беру туралы еске салатын электрондық хат жіберіледі. Лонафарниб препаратының әрбір жіберілімі препараттың 4 айға жететін көлемін қамтиды. Бұл жағдай өзгерсе, БҰБ қатысушыларының барлығына хабар беріледі.
- Содан кейін дәрігер препаратты сізге/балаңызға береді.
- БҰБ-ға барлық елдердің тұрғындарына рұқсат етіле бермейді. А қосымшасында елдердің тізімі мен лонафарниб БҰБ күйі көрсетілген. Сіз/балаңыз тұратын ел тізімде көрсетілмесе де БҰБ қолжетімді болуы мүмкін. Бұндай жағдайда Прогерияны зерттеу қорына 978-535-2594 нөмірі бойынша немесе [info@progeriaresearch.org](mailto:info@progeriaresearch.org) поштасы арқылы хабарласыңыз. Емдеуші дәрігер өз кезегінде Clinigen компаниясының дәрі-

дәрмекке қол жеткізу бөліміне +44 (0) 1932 824123 нөмірі бойынша немесе [medicineaccess@clinigengroup.com](mailto:medicineaccess@clinigengroup.com) поштасы арқылы хабарласа алады.

### **3. Басқарылатын ұсыну бағдарламасына қатысуға қандай талаптар қойылады?**

БҰБ-ға қатысу үшін сіздің/балаңыздың жасы кем дегенде 12 айдан асқан және төмендегі шарттарға сай болуыңыз керек:

1. ХГПС (прогерия) немесе прогероидті ламинопатия диагнозы қойылған.
2. Сіздің/балаңыздың бауыры және бүйректері лонафарниб препаратын тиісті түрде бойға тарата алатынын көрсететін қан талдауы.
3. БҰБ-ға қатысу нәтижесінде сіздің/балаңыздың денсаулығына қауіп төнетін бақыланбайтын жұқпалы ауру немесе ауыр сырқат болмауы тиіс.
4. Сіз/балаңыз бала көтеретін жастағы әйел болса, жүктілікті анықтайтын тест.
5. Сіз/балаңыз лонафарниб қабылдаған кезде кейбір дәрі-дәрмектерді және тағамдарды ішуге болмайды. Оларды дәрігер сізбен талқылайды. Лонафарниб препаратымен қандай да бір сезімтал СҮРЗА субстраттарын және қатты немесе орташа СҮРЗА тежегіштерін немесе ынталандырғыштарын қолдану кезінде абай болуыңыз қажет. Бұндай дәрі-дәрмектер лонафарнибтің зат алмасуын өзгертуі мүмкін. Осы шарттарға сай келетін дәрі-дәрмектер туралы дәрігеріңізбен ақылдасыңыз.
  - а. Емдеуші дәрігерге қабылдап жүрген барлық дәрі-дәрмектер мен өсімдіктен жасалған дәрілік құралдар туралы айтыңыз. Белгілі бір дәрі-дәрмектер мен өсімдіктен жасалған дәрілік құралдар СҮРЗА тежегіштері немесе ынталандырғыштары қатарына кіруі мүмкін. Яғни, олар лонафарнибтің зат алмасуын өзгертуі мүмкін. Лонафарниб препаратын қабылдайтын адамдар СҮРЗА тежейтін немесе ынталандыратын өсімдіктен жасалған дәрілік құралдарды, дәрі-дәрмектерді және тағамдарды (грейпфрут шырынын және Севилья апельсиндерін) қабылдауын тоқтатуы керек.

В қосымшасында толық БҰБ-ға қосу және шығару шарттары көрсетілген. Емдеуші дәрігер осы екі шарттар жинағының екеуін де көруі қажет.

### **4. Басқарылатын ұсыну бағдарламасы шеңберінде пациент лонафарниб препаратымен қаншалықты ұзақ емделеді?**

- Сіз емдеуді тоқтату туралы шешім қабылдағанша немесе лонафарниб препараты мақұлданып, дәріханаларда сатылғанға дейін Eiseg компаниясы Clinigen арқылы лонафарниб препаратын жеткізуді жалғастырады. Дәріханаларда сатыла бастаған

кезде өзіңіздің/балаңыздың емдеуші дәрігерінен рецепт алып, лонафарниб препаратын сатып алуыңызға болады.

**5. Бағдарлама барысында лонафарниб салу үшін дәрігерге қаншалықты жиі барып тұруым керек?**

- Сіз немесе сіздің күтушіңіз лонафарниб препаратын емдеуші дәрігерден кем дегенде 4 ай сайын алып тұруды жоспарлауыңыз керек.

**6. БҰБ-ға тіркелу сәтті аяқталған соң лонафарнибті қалай алып тұратын боламын?**

- Емдеуші дәрігер лонафарниб препаратына Clinigen компаниясы ұсынған онлайн жүйе арқылы тапсырыс береді. Лонафарниб дәрігеріңізге жіберіледі және оны әдетте дәрігерден сіз/күтушіңіз алып кете алады.

**7. Менің дәрігерім БҰБ-ға қалай тіркеле алады?**

- БҰБ-ға тіркелу үшін емдеуші дәрігеріңіз Clinigen компаниясына +44 (0) 1932 824123 нөмірі бойынша қоңырау шалуы немесе [medicineaccess@clinigengroup.com](mailto:medicineaccess@clinigengroup.com) поштасына жазуы керек. Сізді БҰБ-ға тек қана емдеуші дәрігеріңіз тіркей алады. Пациенттер немесе ауруды күтушілер БҰБ-ға тіркелу бойынша Clinigen компаниясына хабарласпауы қажет.

**8. Лонафарнибті қабылдауға байланысты жағымсыз әсерлер жөнінде немесе оны қабылдау барысында сұрақтар туындаған жағдайда маған кім ақпарат бере алады?**

- Жағымсыз әсерлер бойынша емдеуші дәрігеріңізбен ақылдасуыңыз керек. Егер дәрігеріңіздің сұрақтары бар болса, ол Eiger компаниясының медициналық мәселелер жөніндегі бөлімінің ProgeriaMA@eigerbio.com поштасына электрондық хат жазу арқылы хабарласа алады. Дәрігер электрондық хатта өзінің байланыс ақпаратын беруі қажет болады. Электрондық хат арқылы жауап бере алмаған кезде, Eiger компаниясы берілген байланыс ақпараты бойынша қоңырау шалады.

**9. Ауыр жағымсыз құбылыс орын алған жағдайда кімге хабарласуым керек?**

- Жергілікті денсаулық сақтау органының талаптарына сәйкес лонафарнибті қабылдауға байланысты пайда болған ауыр жағымсыз құбылыстар туралы хабарлауға пациент пен дәрігер жауапты болады.
- БҰБ бойынша барлық қауіпсіздік мәселелері туралы хабарлау қызметтерін Novella компаниясы қамтамасыз етеді. Осыған байланысты, ауыр жағымсыз құбылыстар (АЖҚ-лар) туралы Cliniport жүйесіндегі Novella SAE есеп формасының көмегімен хабарлау қажет. Дәрігерлер сондай-ақ Cliniport жүйесімен бірге берілген дүниежүзілік

телефон нөмірлері каталогін пайдаланып Novella компаниясына тікелей қоңырау шала алады.

- Қандай да бір жағымсыз жағдай туралы Clinigen компаниясына **ХАБАРЛАУҒА БОЛМАЙДЫ**.

**10. Лонафарниб басқарылатын ұсыну бағдарламасына қатысты қосымша сұрақтар болса, кімге хабарласуға болады?**

- Пациенттер мен ауруды күтушілер ең алдымен барлығын дәрігерінен сұрауы қажет. Сіздің/балаңыздың дәрігері сұраққа жауап бере алмаса, дәрігер Clinigen компаниясының дәрі-дәрмекке қол жеткізу бөліміне +44 (0) 1932 824123 нөмірі бойынша немесе [medicineaccess@clinigengroup.com](mailto:medicineaccess@clinigengroup.com) поштасы арқылы хабарласа алады. Дәрігер сондай-ақ Eiger компаниясының ProgeriaMA@eigerbio.com поштасына жаза алады. Пациенттер немесе ауруды күтушілер Clinigen компаниясына **хабарласпауы** керек. Пациенттер мен ауруды күтушілер Прогерияны зерттеу қорына 978-535-2594 нөмірі бойынша немесе [info@progeriaresearch.org](mailto:info@progeriaresearch.org) поштасы арқылы хабарласуы қажет.

## А қосымшасы

### Елдердегі басқарылатын ұсыну бағдарламасының күйі

Егер тізімде іздеген еліңізді таппасаңыз, Прогерияны зерттеу қорына 978-535-2594 нөмірі бойынша немесе [info@progeriaresearch.org](mailto:info@progeriaresearch.org) поштасы арқылы хабарласыңыз.

Лонафарниб БҰБ қолжетімді елдер (маусым, 2019 ж.)				
Иә	АҚШ		Иә	Қазақстан
Иә	Алжир		Иә	Мексика
Иә	Аргентина		Иә	Намибия
Иә	Австралия		Иә	Оман
Иә	Бангладеш		Иә	Пәкістан
Иә	Бразилия		Иә	Португалия
Иә	Канада		Иә	Ресей
Иә	Қытай		Иә	Сербия
Иә	Колумбия		Иә	Оңтүстік Африка
Иә	Дания		Иә	Оңтүстік Корея
Иә	Доминикан Республикасы		Иә	Испания
Иә	Франция		Иә	Швеция
Иә	Үндістан		Иә	Украина
Иә	Индонезия		Иә	Ұлыбритания
Иә	Израиль			

Лонафарниб БҰБ қолжетімді болатын елдер*			
Бельгия			Филиппин
Мысыр			Польша
Германия			Сауд Арабиясы
Ирак			Тайвань
Италия			Түркия
Жапония			

\* Бұл елдерде БҰБ-ның нақты қолжетімді болатын уақыты белгісіз. Егер сіз/балаңыз осы елдердің бірінде тұратын болсаңыз және сіз/балаңыз лонафарниб БҰБ-на қатысқыңыз келетін болса, Прогерияны зерттеу қорына хабарласыңыз.

Лонафарниб БҰБ қолжетімді болмайтын елдер**			
Гондурас			Тәжікстан
Ливия			Танзания
Непал			Того
Палестина-Газа			
Шри-Ланка			
Тегі			

\*\* Бұл тізім толық болмауы мүмкін. Егер сіз/балаңыз осы елдердің бірінде тұрып, ХГПС немесе ПЛ ауруларын емдеу үшін лонафарниб қабылдағыңыз келсе, Прогерияны зерттеу қорына хабарласыңыз.

## **В қосымшасы**

### **Қосу және шығару шарттары**

Бұл бөлімде медициналық терминдер қолданылған және ол сіздің/балаңыздың жергілікті дәрігерімен сөйлесе алуы үшін құралған.

#### **Бағдарламаға қабылдау шарты**

Бағдарламаға қатысуға жарамды болуы үшін пациенттер төмендегі қосу шарттарымен танысып алуы қажет.

1. Тәжірибелі дәрігер қойған клиникалық ХГПС немесе прогероидті ламинопатия диагнозы (Gordon et al, 2015 және Meredith et al, 2008 құжаттарында сипатталған жалпы фенотип негізінде). Генетикалық талдау көмегімен растаған жөн, бірақ ол міндетті емес.
2. Пациенттің жасы 12 айдан асқан болуы керек.
3. Пациенттердің бауырының функциясы SGPT (ALT) және SGOT (AST) бойынша анықталғандай, жасына сәйкес қалыпты диапазонның жоғарғы шегінен  $\leq 5$  есе болуы қажет.
4. Бағдарлама процедураларын бастамай тұрып, ата-ана(лар)ы немесе қамқоршы(лар)ы қол қойған келісім/рұқсат алынуы қажет.

#### **Бағдарламаға қабылдамау шарты**

Төмендегі шарттардың **кез келгеніне** сәйкес келетін пациенттер бағдарламаға қабылданбайды:

1. Пациенттер орташа немесе қатты СYP3A4 тежегіштері немесе ынталандырғыштары немесе СYP3A субстраттары болғаны белгілі дәрі-дәрмектерді немесе тағамды қабылдап жүрмеген болуы тиіс (тізімі рұқсат қағазымен бірге беріледі).
2. Пациенттер дигоксин, терапевтік диапазоны жіңішке P-gp субстратын қабылдап жүрмеген болуы тиіс.
3. Пациенттерде бақыланбайтын жұқпалы ауру болмауы тиіс.
4. Пациенттерде анық бауыр дисфункциясы болмауы тиіс.
5. Пациенттерде емдеуші дәрігердің пікірі бойынша клиникалық тұрғыдан қарағанда маңызды, бағдарламаға қауіпсіз қатысуына мүмкіндік бермейтін медициналық жағдай болмауы тиіс.
6. Пациенттерде дәрілік түрде қамтылған эксципиенттердің кез келгеніне анық немесе болжалды жоғарғы сезімталдық болмауы тиіс.
7. Пациенттер жүкті, бала емізетін немесе емдеу барысында жүктілікті жоспарлап жүрген болмауы тиіс.