

**Programa de Acesso Controlado  
(Managed Access Program, MAP) ao lonafarnibe  
Informações, perguntas e respostas para  
pacientes, cuidadores e médicos  
Junho de 2019**

A Eiger BioPharmaceuticals, fabricante do medicamento lonafarnibe, está patrocinando um Programa de Acesso Controlado (*Managed Access Program*, MAP). O objetivo deste MAP é permitir que os pacientes elegíveis com Síndrome Progeroide de Hutchinson-Gilford (HGPS ou progéria) ou laminopatia progeroide (LP) tenham acesso ao tratamento com lonafarnibe. O Programa de Acesso Controlado fornecerá lonafarnibe para pacientes elegíveis com HGPS ou LP em três categorias:

**1) os que nunca tomaram lonafarnibe;**

**2) os que tomaram lonafarnibe anteriormente, mas não estejam tomando lonafarnibe no momento;**

**3) os que têm tomado lonafarnibe como parte de uma pesquisa clínica e gostariam de continuar o tratamento com lonafarnibe ao concluir sua participação no estudo clínico. Se você/seu filho estiver participando atualmente do estudo no Hospital Infantil de Boston e você/seu filho estiver na parte do estudo que inclui o medicamento everolimo, vocês terão a oportunidade de receber lonafarnibe por meio do MAP quando aquele estudo terminar. Se você/seu filho estiver no estudo de extensão do Hospital Infantil de Boston e estiver tomando APENAS lonafarnibe atualmente, você/seu filho passará para o MAP. A transição será cuidadosamente planejada para que o suprimento do medicamento continue consistente.**

Atualmente, o lonafarnibe é considerado um tratamento em pesquisa para a Síndrome Progeroide de Hutchinson-Gilford e laminopatias progeroides. Até o momento em que este comunicado foi escrito, nenhuma autoridade regulatória do mundo havia aprovado o lonafarnibe para comercialização. Em outras palavras, você não pode ir a uma farmácia local com uma receita do seu médico ou do médico do seu filho e obter o produto.

Para os pacientes elegíveis com HGPS e LP que morem em um país que permita a oferta do MAP do lonafarnibe, esta será a única forma de se ter acesso ao medicamento, salvo se você/seu filho ainda estiver participando em um estudo do Hospital Infantil de Boston que inclua o lonafarnibe. O MAP do lonafarnibe continuará em vigor até que o suprimento comercial de lonafarnibe para HGPS e LPs seja disponibilizado no seu país. Caso essa situação mude, os participantes do MAP serão notificados.

As próximas páginas incluem uma lista de Perguntas e Respostas e o Anexos A e B.

## Perguntas e Respostas

### 1. O que é um Programa de Acesso Controlado (MAP)?

- Um programa de acesso controlado permite que todos os pacientes elegíveis com um quadro clínico com risco de morte tenham acesso a um medicamento que ainda não foi aprovado pela autoridade reguladora de seu país para venda comercial.

### 2. O que preciso fazer para ser considerado para o Programa de Acesso Controlado do lonafarnibe?

- Todos os pacientes que quiserem participar do MAP do lonafarnibe devem ter um médico local disposto a atender às exigências do programa.
- Como o lonafarnibe é um produto de medicamento em investigação, é muito importante que o médico de cada paciente entenda como usar o lonafarnibe no tratamento de pacientes com HGPS ou uma laminopatia progeroide. Quando se inscrever no MAP do lonafarnibe, o médico responsável pelo tratamento receberá informações importantes.
- A Eiger BioPharmaceuticals está usando uma empresa muito experiente, chamada Clinigen, para ajudar seu médico local na sua transição/transição do seu filho para o MAP. A Clinigen também supervisionará o programa continuamente.
- O médico é responsável por se registrar e registrar você/seu filho na Clinigen. O registro deve ser feito pelo médico local. Para tanto, ele deve entrar em contato com a Clinigen. As famílias/os pacientes não podem registrar-se a si próprios.
- O médico responsável pelo tratamento deve assegurar que a Clinigen tenha todas as informações apropriadas necessárias para que o lonafarnibe possa ser distribuído adequadamente.
- Depois da inclusão do médico e de assegurar que o paciente atende aos critérios do programa, o médico responsável pelo tratamento pedirá à Clinigen o lonafarnibe para seu filho.
- O lonafarnibe é entregue no consultório do médico local ou na farmácia de um hospital/clínica. O médico responsável pelo tratamento pode pedir o lonafarnibe seis semanas antes de o suprimento de lonafarnibe do paciente acabar. Caso o médico não tenha pedido o lonafarnibe pelo menos um mês antes da data esperada de término do suprimento, o médico receberá um lembrete, por e-mail, para fazer o pedido. Cada remessa de lonafarnibe contém um suprimento para quatro meses. Caso isso mude, todos os participantes do MAP serão notificados.
- Depois o médico entregará o medicamento para você/seu filho.
- Nem todos os países permitem a oferta de MAPs para seus residentes. O Anexo A apresenta uma lista de países e a situação deles em relação ao MPA do lonafarnibe. Se o país no qual você/seu filho reside não estiver listado, é possível que o MPA ainda seja viável. Neste caso, entre em contato com: The Progeria Research Foundation no telefone 978-535-2594 ou enviando um e-mail para [info@progeriaresearch.org](mailto:info@progeriaresearch.org). Alternativamente, o médico responsável pelo tratamento pode entrar em contato com a equipe de acesso a

medicamentos da Clinigen no telefone +44 (0) 1932 824123 ou enviando um e-mail para [medicineaccess@clinigengroup.com](mailto:medicineaccess@clinigengroup.com).

### **3. O que é necessário para ser elegível para o Programa de Acesso Controlado?**

Para ser elegível ao MAP, você/seu filho devem ter, no mínimo, 12 meses de idade e atender a todos os critérios a seguir:

1. um diagnóstico de HGPS (Progéria) ou uma laminopatia progeroide;
2. exames de sangue para ter certeza que seu fígado e rins/fígado e rins do seu filho podem processar adequadamente o lonafarnibe;
3. nenhuma infecção não controlada ou outro quadro clínico grave, que faça com que sua participação/participação do seu filho no MAP seja insegura;
4. um teste de gravidez negativo, caso você/sua filha possam engravidar;
5. alguns medicamentos e alimentos são proibidos enquanto você/seu filho estiver tomando lonafarnibe. O seu médico conversará sobre isso com você. É necessário ter cautela com o uso do lonafarnibe e qualquer substrato sensível a CYP3A e inibidores ou indutores de CYP3A fortes ou moderados. Esses medicamentos podem alterar o metabolismo do lonafarnibe. Converse com seu médico sobre os medicamentos que atendem a qualquer um desses critérios.
  - a. Conte ao médico responsável pelo tratamento sobre todos os medicamentos e fitoterápicos que você estiver tomando. Alguns medicamentos fitoterápicos podem ser classificados como inibidores ou indutores de CYP3A. Isso quer dizer que eles podem alterar o metabolismo do lonafarnibe. As pessoas que tomam o lonafarnibe devem interromper o uso de fitoterápicos, medicamentos e alimentos (suco de toranja e laranja da terra) que inibem ou induzem o CYP3A.

O Anexo B apresenta todos os critérios de inclusão e exclusão no MAP. O médico responsável pelo tratamento vai querer ver os dois conjuntos de critérios.

### **4. Por quanto tempo o paciente pode ser tratado com lonafarnibe como parte do Programa de Acesso Controlado?**

- A Eiger continuará a oferecer acesso ao lonafarnibe, por meio da Clinigen, até que você decida interromper o tratamento, ou até que o lonafarnibe seja aprovado e disponibilizado comercialmente em seu país. Quando estiver disponível comercialmente, você poderá obter o lonafarnibe com uma receita do médico que trata você/seu filho.

**5. Com que frequência deverei visitar meu médico para pegar o lonafarnibe durante o programa?**

- Você ou seu cuidador deve planejar pegar o lonafarnibe com o médico responsável pelo tratamento pelo menos a cada quatro meses.

**6. Depois de ter conseguido me inscrever para o MAP, como eu continuo a receber os refis de lonafarnibe?**

- O médico responsável pelo tratamento solicitará o lonafarnibe por meio de um sistema on-line oferecido pela Clinigen. O lonafarnibe será enviado para seu médico e, geralmente, você/seu cuidador pode pegá-lo no consultório do médico.

**7. Como meu médico se registra no MAP?**

- O médico responsável pelo seu tratamento se registrará no MAP ligando para a Clinigen no telefone +44 (0) 1932 824123 ou enviando um e-mail para [medicineaccess@clinigengroup.com](mailto:medicineaccess@clinigengroup.com). O médico responsável pelo seu tratamento é a única pessoa que pode registrar você no MAP. Os pacientes ou cuidadores **não** devem entrar em contato com a Clinigen em relação ao registro no MAP.

**8. Quem ajudará com as informações sobre os efeitos colaterais associados ao lonafarnibe ou se eu tiver dúvidas enquanto estiver tomando o lonafarnibe?**

- O médico responsável pelo seu tratamento controlará seus efeitos colaterais. Se seu médico tiver alguma dúvida, ele pode entrar em contato com o departamento de Assuntos Médicos da Eiger, enviando um e-mail para [ProgeriaMA@eigerbio.com](mailto:ProgeriaMA@eigerbio.com). Pediremos que seu médico forneça as informações de contato no e-mail. Com isso, a Eiger poderá ligar se as perguntas não puderem ser respondidas por e-mail.

**9. Com quem devo entrar em contato no caso de um evento adverso sério?**

- O paciente e o médico mantêm a responsabilidade de relatar os eventos adversos graves associados ao uso do lonafarnibe, conforme exigido por sua autoridade sanitária local.
- Novella é a empresa que presta todos os serviços de relatório de segurança para o MAP. Assim, os eventos adversos sérios (EAS) devem ser relatados usando o formulário de relatório de EAS da Novella, disponível no sistema Cliniport. Os médicos também podem ligar diretamente para a Novella, usando o diretório de número globais contido no sistema Cliniport.
- Os eventos adversos **NÃO DEVEM** ser relatados à Clinigen.

**10. Com quem eu falo se tiver mais dúvidas sobre o Programa de Acesso Controlado do lonafarnibe?**

- Os pacientes ou cuidadores sempre devem começar fazendo as perguntas aos seus médicos. Caso o seu médico/médico do seu filho não consiga responder à pergunta, ele pode entrar em contato com a equipe de Acesso a Medicamento da Clinigen no telefone +44 (0) 1932 824123 ou pelo e-mail [medicineaccess@clinigengroup.com](mailto:medicineaccess@clinigengroup.com). O médico também pode entrar em contato com a Eiger enviando um e-mail para [ProgeriaMA@eigerbio.com](mailto:ProgeriaMA@eigerbio.com). Os pacientes ou cuidadores **não** devem entrar em contato com a Clinigen. Os pacientes e cuidadores só devem entrar em contato com a The Progeria Research Foundation pelo telefone 978-535-2594, ou enviando um e-mail para [info@progeriaresearch.org](mailto:info@progeriaresearch.org).

## Anexo A

### Situação do Programa de Acesso Controlado do país

Se seu país de interesse não estiver em nenhuma dessas listas, entre em contato com a The Progeria Research Foundation pelo telefone 978-535-2594 ou envie um e-mail para [info@progeriaresearch.org](mailto:info@progeriaresearch.org).

Países com MAP para lonafarnibe em junho de 2019				
Sim	Estados Unidos		Sim	Cazaquistão
Sim	Argélia		Sim	México
Sim	Argentina		Sim	Namíbia
Sim	Austrália		Sim	Omã
Sim	Bangladesh		Sim	Paquistão
Sim	Brasil		Sim	Portugal
Sim	Canadá		Sim	Rússia
Sim	China		Sim	Sérvia
Sim	Colômbia		Sim	África do Sul
Sim	Dinamarca		Sim	Coreia do Sul
Sim	República Dominicana		Sim	Espanha
Sim	França		Sim	Suécia
Sim	Índia		Sim	Ucrânia
Sim	Indonésia		Sim	Reino Unido
Sim	Israel			

Países onde o MAP do lonafarnibe será disponibilizado*	
Bélgica	Filipinas
Egito	Polônia
Alemanha	Arábia Saudita
Iraque	Taiwan
Itália	Turquia
Japão	

\*Não se sabe exatamente quando o MAP estará disponível nesses países. Se você/seu filho for de um desses países e estiver interessado em participar no MAP do lonafarnibe, entre em contato com The Progeria Research Foundation.

Países onde o MAP do lonafarnibe <b>NÃO</b> será disponibilizado**	
Honduras	Tajiquistão
Líbia	Tanzânia
Nepal	Togo
Palestina-Gaza	
Sri Lanka	
Suriname	

\*\*Esta lista pode não estar completa. Se você/seu filho for de um desses países e estiver interessado em participar no MAP do lonafarnibe, entre em contato com The Progeria Research Foundation.

## **Anexo B**

### **Critérios de inclusão e exclusão**

Esta seção contém linguagem médica e pretende principalmente que você consiga se comunicar com seu médico/médico do seu filho.

#### **Critérios de inclusão**

Os pacientes devem atender a todos os critérios de inclusão abaixo para serem elegíveis para inclusão no programa.

1. Diagnóstico clínico de HGPS ou laminopatia progeroide por um médico qualificado (com base no fenótipo comum descrito em Gordon et al, 2015 e Meredith et al, 2008). De preferência, mas não obrigatoriamente, confirmação com teste genético.
2. O paciente deve ter mais de 12 meses
3. Os pacientes devem ter as funções hepáticas adequadas, definidas pelo SGPT (ALT) e SGOT (AST)  $\leq 5$  vezes a faixa limite superior da normalidade para a idade
4. Antes de qualquer procedimento do programa, é necessário obter o consentimento livre e esclarecido/assentimento do pai e/ou mãe ou guardião assinado

#### **Critérios de exclusão**

Os pacientes que atenderem a **qualquer** dos critérios abaixo serão excluídos do programa:

1. os pacientes não devem estar tomando medicamentos ou alimentos que sejam sabidamente indutores ou inibidores moderados ou fortes de CYP3A4 ou substratos sensíveis a CYP3A (o consentimento livre e esclarecido apresenta a lista);
2. os pacientes não devem estar tomando digoxina, um substrato P-gp com um estreito intervalo terapêutico;
3. os pacientes não devem ter infecção não controlada;
4. os pacientes não deve ter disfunção hepática evidente;
5. os pacientes não devem ter qualquer quadro clínico clinicamente relevante que, na opinião do médico responsável pelo tratamento, poderia inviabilizar sua participação segura no programa;
6. os pacientes não devem ter hipersensibilidade conhecida ou suspeita a qualquer dos excipientes contidos na formulação;
7. as pacientes não devem estar grávidas ou amamentando, ou planejar engravidar enquanto estiverem na terapia.