

## **Программа управляемого предоставления недоступного препарата (МАР) лонафарниба**

### **Информация, вопросы и ответы для пациентов, лиц, осуществляющих уход, и врачей**

Июнь 2019 г.

Компания Eiger BioPharmaceuticals, производитель препарата лонафарниба, является спонсором Программы управляемого предоставления недоступного препарата (Managed Access Program, МАР). Цель этой МАР — предоставить пациентам с синдромом прогерии Хатчинсона — Гилфорда (СПХГ [Hutchinson — Gilford Progeria Syndrome, HGPS] или прогерией) или прогероидной ламинопатией (ПЛ [Progeroid Laminopathy, PL]), удовлетворяющим критериям участия, доступа к лечению лонафарнибом. Программа управляемого предоставления недоступного препарата будет обеспечивать лонафарнибом 3 категории пациентов с СПХГ и ПЛ, удовлетворяющих критериям участия:

- 1) Тех, кто никогда раньше не принимал лонафарниб.**
- 2) Тех, кто принимал лонафарниб ранее, но не принимает лонафарниб в настоящее время.**
- 3) Тех, кто принимал лонафарниб в рамках клинического исследования и хотел бы продолжить лечение лонафарнибом после завершения своего участия в клиническом исследовании. Если Вы / Ваш ребенок в настоящее время участвуете в исследовании, проводимом в Бостонской детской больнице, и Вы / Ваш ребенок участвуете в той части исследования, которая включает препарат эверолимус, у Вас будет возможность получать лонафарниб по программе МАР после завершения исследования. Если Вы / Ваш ребенок участвуете в дополнительном исследовании, проводимом в Бостонской детской больнице, и в настоящее время принимаете ТОЛЬКО лонафарниб, Вы / Ваш ребенок перейдете в МАР. Переход будет тщательно спланирован, с тем чтобы прием лекарства не прерывался.**

Лонафарниб в настоящее время считается экспериментальным лечением синдрома прогерии Хатчинсона — Гилфорда и прогероидной ламинопатии. На момент написания данного сообщения ни в одной из стран мира лонафарниб не был одобрен для продажи регулирующими органами. Другими словами, Вы не можете пойти в местную аптеку и приобрести данный препарат по рецепту Вашего врача / врача Вашего ребенка.

Для тех удовлетворяющих критериям пациентов с СПХГ и ПЛ, которые проживают в стране, где разрешается предоставление лонафарниба в рамках МАР, это будет единственным способом получения доступа к препарату, если только Вы / Ваш ребенок не участвуете в исследовании лонафарниба, проводимом в Бостонской детской больнице.

МАР лонафарниба будет продолжать действовать до тех пор, пока лонафарниб для лечения СПХГ и ПЛ не появится в продаже в Вашей стране. Если данное положение изменится, все участники МАР будут об этом уведомлены.

На следующих страницах приведен список вопросов и ответов, а также приложения А и Б.

## Вопросы и ответы

### 1. Что такое программа управляемого предоставления недоступного препарата (МАР)?

- Программа управляемого предоставления недоступного препарата позволяет удовлетворяющему критериям пациенту с состоянием, представляющим угрозу для жизни, получить доступ к лекарственному препарату, продажа которого еще не была одобрена регулирующим органом страны проживания пациента.

### 2. Что мне нужно сделать, чтобы принять участие в программе управляемого предоставления недоступного препарата лонафарниба?

- Все пациенты, желающие принять участие в МАР лонафарниба, должны наблюдаться у местного врача, который готов выполнить требования программы.
- Поскольку лонафарниб является экспериментальным лекарственным препаратом, очень важно, чтобы врач каждого пациента понимал, каким образом следует применять лонафарниб для лечения пациентов с СПХГ или прогероидной ламинопатией. Важная информация будет предоставлена лечащему врачу после регистрации в МАР лонафарниба.
- Компания Eiger BioPharmaceuticals пользуется услугами высококвалифицированной компании Clinigen, чтобы помочь вашему местному врачу перевести Вас / Вашего ребенка в МАР. Компания Clinigen также будет контролировать программу на постоянной основе.
- Врач несет ответственность за свою регистрацию и регистрацию Вас / Вашего ребенка в компании Clinigen. Регистрация должна быть выполнена местным врачом. Это осуществляется посредством обращения в компанию Clinigen. Семьи/пациенты не могут регистрироваться самостоятельно.
- Лечащий врач гарантирует получение компанией Clinigen всей необходимой информации, с тем чтобы выдача лонафарниба осуществлялась надлежащим образом.
- После успешного включения и проверки врачом соответствия пациента критериям программы, лечащий врач заказывает лонафарниб для детей в компании Clinigen.
- Лонафарниб доставляется в кабинет врача или в аптеку местной больницы/клиники. Лечащий врач может заказать лонафарниб за 6 недель до того, как запас лонафарниба у пациента будет исчерпан. Если врач не заказал лонафарниб по меньшей мере за месяц до ожидаемого исчерпания запаса лекарства, врачу будет отправлено электронное письмо с напоминанием о необходимости повторного заказа. Каждая партия лонафарниба содержит запас на 4 месяца. Если данное положение изменится, все участники МАР будут об этом уведомлены.
- Затем врач выдаст лекарство Вам / Вашему ребенку.
- Не все страны разрешают предоставлять МАР населению. В приложении А приведен список стран и их статус в отношении МАР лонафарниба. Если страны, в которой Вы / Ваш ребенок проживаете, нет в списке, участие в МАР все еще может быть

возможным. В данной ситуации просим Вас связаться с Исследовательским фондом прогерии по телефону 978-535-2594 или по электронной почте [info@progeriaresearch.org](mailto:info@progeriaresearch.org). В свою очередь, лечащий врач может связаться с Группой доступа к лекарственным препаратам компании Clinigen по телефону +44 (0) 1932 824123 или по электронной почте [medicineaccess@clinigengroup.com](mailto:medicineaccess@clinigengroup.com).

### **3. Что требуется для удовлетворения критериям участия в программе управляемого предоставления недоступного препарата?**

Чтобы удовлетворять критериям участия в MAP, Вы / Ваш ребенок должны быть не младше 12 месяцев и соответствовать всем следующим критериям:

1. Диагноз СПХГ (прогерии) или прогероидной ламинопатии.
2. Выполненные анализы крови, чтобы убедиться, что печень и почки у Вас / Вашего ребенка могут перерабатывать лонафарниб должным образом.
3. Отсутствие неконтролируемой инфекции или другого серьезного заболевания, которое может сделать участие в MAP небезопасным для Вас / Вашего ребенка.
4. Отрицательный тест на беременность, если Вы / Ваш ребенок женского пола и детородного возраста.
5. Некоторые лекарства и продукты питания запрещено употреблять, пока Вы / Ваш ребенок принимаете лонафарниб. Ваш врач обсудит это с Вами. Лонафарниб и любые чувствительные субстраты CYP3A и сильные или умеренные ингибиторы или индукторы CYP3A следует применять с осторожностью. Эти лекарства могут изменять метаболизм лонафарниба. Обсудите с врачом лекарственные препараты, которые соответствуют любому из этих критериев.
  - a. Расскажите лечащему врачу обо всех препаратах и растительных лекарственных средствах, которые Вы принимаете. Некоторые препараты и лекарственные средства растительного происхождения могут быть отнесены к ингибиторам или индукторам CYP3A. Это означает, что они могут изменять метаболизм лонафарниба. Люди, принимающие лонафарниб, должны прекратить применять растительные лекарственные средства, лекарственные препараты и употреблять продукты питания (грейпфрутовый сок и горькие апельсины), которые ингибируют или индуцируют CYP3A.

В приложении Б приведен список всех критериев включения и невключения в MAP. Лечащий врач захочет ознакомиться с обоими списками критериев.

**4. Как долго пациент может лечиться лонафарнибом в рамках программы управляемого предоставления недоступного препарата?**

- Компания Eiger будет продолжать предоставлять доступ к лонафарнибу с помощью компании Clinigen до тех пор, пока Вы не решите прекратить лечение или пока препарат не будет одобрен и доступен для продажи в Вашей стране. Как только он поступит в продажу, Вы сможете получать лонафарниб по рецепту Вашего лечащего врача / лечащего врача Вашего ребенка.

**5. Как часто во время участия в программе мне нужно будет посещать врача для получения лонафарниба?**

- Вы или лицо, осуществляющее уход, должны планировать визиты к врачу с целью получения лонафарниба не реже одного раза в 4 месяца.

**6. Как мне продолжить пополнять запасы лонафарниба после успешной регистрации в MAP?**

- Лечащий врач будет размещать заказы на лонафарниб через онлайн-систему, доступ к которой предоставляется компанией Clinigen. Лонафарниб будет доставляться Вашему врачу, и Вы / лицо, осуществляющее уход, как правило, сможете получать препарат в его/ее офисе.

**7. Как мой врач сможет зарегистрироваться в MAP?**

- Ваш лечащий врач сможет зарегистрироваться в MAP, позвонив в компанию Clinigen по телефону +44 (0) 1932 824123 или отправив письмо по электронной почте [medicineaccess@clinigengroup.com](mailto:medicineaccess@clinigengroup.com). Только Ваш лечащий врач сможет зарегистрировать Вас в MAP. Пациентам или лицам, осуществляющим уход, не следует обращаться в компанию Clinigen для регистрации в MAP.

**8. Кто сможет предоставить мне информацию о побочных эффектах, связанных с приемом лонафарниба, или ответить на вопросы, возникшие во время приема лонафарниба?**

- Ваш лечащий врач будет помогать Вам контролировать возникшие у Вас побочные эффекты. Если у Вашего врача появятся какие-либо вопросы, он/она сможет связаться с Отделом по медицинским вопросам компании Eiger, отправив электронное письмо на адрес [ProgeriaMA@eigerbio.com](mailto:ProgeriaMA@eigerbio.com). Вашего врача попросят сообщить в электронном письме свою контактную информацию. Это позволит компании Eiger связаться с ним / с ней по телефону, если на вопрос(-ы) нельзя будет ответить по электронной почте.

**9. С кем следует связаться в случае возникновения серьезного нежелательного явления?**

- Пациент и врач несут ответственность за сообщение о серьезных нежелательных явлениях, связанных с применением лонафарниба, в соответствии с требованиями местных органов здравоохранения.
- Novella — это компания, предоставляющая услуги, связанные с подачей отчетов по безопасности в рамках MAP. В этой связи о серьезных нежелательных явлениях (СНЯ) следует сообщать, используя форму сообщения о СНЯ компании Novella, доступную в системе Cliniport. Врачи могут также звонить в компанию Novella напрямую, используя всемирный каталог телефонных номеров, включенный в систему Cliniport.
- В компанию Clinigen **НЕ СЛЕДУЕТ** сообщать о любом типе нежелательного явления.

**10. К кому мне обратиться, если у меня возникнут дополнительные вопросы относительно программы управляемого предоставления недоступного препарата лонафарниба?**

- Пациенты или лица, осуществляющие уход, всегда должны сначала задавать вопросы своим врачам. В случае, если Ваш врач / врач Вашего ребенка не может ответить на какой-либо вопрос, он/она может связаться с Группой доступа к лекарственным препаратам компании Clinigen по телефону +44 (0) 1932 824123 или по электронной почте [medicineaccess@clinigengroup.com](mailto:medicineaccess@clinigengroup.com). Врач также может отправить электронное письмо компании Eiger по адресу [ProgeriaMA@eigerbio.com](mailto:ProgeriaMA@eigerbio.com). Пациентам или лицам, осуществляющим уход, **не** следует связываться с компанией Clinigen. Вместо этого пациентам и лицам, осуществляющим уход, следует обращаться только в Исследовательский фонд прогерии по телефону 978-535-2594 или по электронной почте [info@progeriaresearch.org](mailto:info@progeriaresearch.org).

## Приложение А

### Статус стран в отношении программы управляемого предоставления недоступного препарата

Если интересующей Вас страны нет ни в одном из этих списков, свяжитесь с Исследовательским фондом прогерии по телефону 978-535-2594 или отправьте электронное письмо по адресу [info@progeriaresearch.org](mailto:info@progeriaresearch.org).

Страны, имеющие доступ к МАР лонафарниба в июне 2019 г.			
Да	Соединенные Штаты Америки	Да	Казахстан
Да	Алжир	Да	Мексика
Да	Аргентина	Да	Намибия
Да	Австралия	Да	Оман
Да	Бангладеш	Да	Пакистан
Да	Бразилия	Да	Португалия
Да	Канада	Да	Россия
Да	Китай	Да	Сербия
Да	Колумбия	Да	ЮАР
Да	Дания	Да	Южная Корея
Да	Доминиканская Республика	Да	Испания
Да	Франция	Да	Швеция
Да	Индия	Да	Украина
Да	Индонезия	Да	Великобритания
Да	Израиль		

Страны, в которых МАР лонафарниба станет доступной*	
Бельгия	Филиппины
Египет	Польша
Германия	Саудовская Аравия
Ирак	Тайвань
Италия	Турция
Япония	

\*Точные сроки открытия доступа к МАР в этих странах неизвестны. Если Вы / Ваш ребенок проживаете в одной из этих стран и заинтересованы в участии в программе МАР лонафарниба, свяжитесь с Исследовательским фондом прогерии.

Страны, где МАР лонафарниба НЕ будет доступной**	
Гондурас	Таджикистан
Ливия	Танзания
Непал	Того
Палестина — Газа	
Шри-Ланка	
Суринам	

\*\*Список может быть неполным. Если Вы / Ваш ребенок проживаете в одной из этих стран и хотите получить доступ к лонафарнибу для лечения СПХГ или ПЛ, свяжитесь с Исследовательским фондом прогерии.

## Приложение Б

### Критерии включения и невключения

Этот раздел содержит медицинскую терминологию и предназначен, прежде всего, для того, чтобы Вы смогли общаться с Вашим местным врачом / местным врачом Вашего ребенка.

#### Критерии включения

Пациенты должны удовлетворять всем следующим критериям включения, чтобы иметь право на участие в программе.

1. Клинический диагноз СПХГ или прогероидной ламинопатии, установленный квалифицированным врачом (на основе общего фенотипа, как описано в Gordon et al, 2015 и Meredith et al, 2008). Подтверждение, полученное с помощью генетического анализа, является предпочтительным, но не обязательным.
2. Пациент в возрасте от 12 месяцев и старше.
3. Пациенты должны иметь адекватную функцию печени, определенную по СГПТ (АЛТ) и СГОТ (АСТ) в  $\leq 5$  раз выше верхнего предела нормального диапазона для конкретного возраста.
4. Подписанное информированное согласие / согласие родителей (одного из родителей) или опекуна(-ов) должно быть получено до проведения любых процедур в рамках программы.

#### Критерии невключения

Пациенты, соответствующие **любому** из следующих критериев, не могут быть включены в программу:

1. Пациенты не должны принимать лекарственные препараты или употреблять продукты питания, которые являются известными умеренными или сильными индукторами или ингибиторами CYP3A4 или чувствительными субстратами CYP3A (список будет предоставлен в ходе процедуры подписания информированного согласия).
2. Пациенты не должны принимать дигоксин, субстрат P-гр с узким терапевтическим окном.
3. У пациентов не должно быть неконтролируемой инфекции.
4. У пациентов не должно быть явного нарушения функции печени.

5. У пациентов не должно быть активных клинически значимых заболеваний, которые, по мнению лечащего врача, не позволили бы им участвовать в программе, не подвергаясь при этом опасности.
6. У пациентов не должно быть диагностированной или подозреваемой гиперчувствительности к любому из ингредиентов препарата.
7. Пациенты женского пола не должны быть беременны, кормить грудью или планировать забеременеть во время терапии.