

Programa de acceso controlado (Managed Access Program, MAP) a lonafarnib
Información, preguntas y respuestas para
pacientes, cuidadores y médicos
Junio de 2019

Eiger BioPharmaceuticals, la empresa fabricante del fármaco lonafarnib, es la promotora de un programa de acceso controlado (MAP). El objetivo de este MAP es permitir a pacientes aptos con síndrome de progeria de Hutchinson-Gilford (SPHG o progeria) o una laminopatía progeroide (LP) obtener acceso al tratamiento con lonafarnib. El programa de acceso controlado proporcionará lonafarnib a pacientes aptos con SPHG y LP en 3 categorías:

- 1) aquellos que nunca han tomado lonafarnib antes;**
- 2) aquellos que han tomado lonafarnib antes pero no lo están tomando en este momento;**
- 3) aquellos que han estado tomando lonafarnib como parte de un ensayo clínico y desean continuar el tratamiento con dicho fármaco tras finalizar su participación en el ensayo clínico. Si usted/su hijo/a está participando actualmente en el ensayo en el Boston Children's Hospital y se encuentra en la parte del estudio que incluye el fármaco everolimús, tendrá la oportunidad de recibir lonafarnib a través del MAP cuando el ensayo haya finalizado. Si usted/su hijo/a se encuentra en el estudio de extensión del ensayo del Boston Children's Hospital y actualmente está tomando SOLAMENTE lonafarnib, pasará al MAP. La transición se planificará atentamente de forma que el suministro del fármaco siga siendo constante.**

Lonafarnib está considerado actualmente un tratamiento en investigación para el síndrome de progeria de Hutchinson-Gilford y laminopatías progeroides. En el momento de escribir este comunicado, lonafarnib no ha sido aprobado por ninguna autoridad sanitaria del mundo para su comercialización. En otras palabras, no puede ir a una farmacia local con una receta de su médico o del médico de su hijo/a y obtener el producto.

Para aquellos pacientes aptos con SPHG y LP que vivan en un país que permita ofrecer el MAP de lonafarnib, ese será el único modo de obtener acceso al fármaco, excepto en caso de que usted/su hijo/a todavía esté participando en un estudio del Boston Children's Hospital que incluya lonafarnib. El MAP de lonafarnib seguirá operativo hasta que el suministro comercial de lonafarnib para SPHG y LP esté disponible en su país. Si esto cambia, se notificará a todos los participantes del MAP.

Las páginas siguientes incluyen una lista de preguntas y respuestas y los anexos A y B.

Preguntas y respuestas

1. ¿Qué es un programa acceso controlado (MAP)?

- Un programa de acceso controlado permite a un paciente apto con una afección potencialmente mortal obtener acceso a un medicamento que todavía no ha sido aprobado por las autoridades sanitarias de su país para la venta comercial.

2. ¿Qué necesito hacer para que se me considere para el programa de acceso controlado a lonafarnib?

- Todos los pacientes que deseen participar en el MAP de lonafarnib deben contar con un médico en su zona dispuesto a satisfacer los requisitos del programa.
- Como lonafarnib es un fármaco en investigación, es muy importante que el médico de cada paciente entienda cómo usarlo en el tratamiento de pacientes con SPHG o una laminopatía progeroide. Se proporcionará información importante a su médico tras su inscripción en el MAP de lonafarnib.
- Eiger BioPharmaceuticals está usando una empresa con gran experiencia llamada Clinigen para ayudar a su médico en su transición/la transición de su hijo/a al MAP. Clinigen también supervisará el programa regularmente.
- El médico es responsable de registrarse a sí mismo y a usted/su hijo/a en Clinigen. El registro debe realizarlo su médico. Esto se hace contactando con Clinigen. Las familias/los pacientes no pueden registrarse a sí mismos.
- Su médico garantiza que Clinigen tenga toda la información adecuada necesaria para que lonafarnib se pueda dispensar apropiadamente.
- Una vez que el médico haya hecho correctamente la inscripción y se haya asegurado de que el paciente cumpla los criterios del programa, pedirá a Clinigen el lonafarnib para su hijo/a.
- El lonafarnib se envía a la consulta de su médico o a la farmacia de un hospital/clínica. Su médico puede pedir lonafarnib seis semanas antes de que se haya agotado el suministro de lonafarnib del paciente. En el caso de que el médico no haya pedido lonafarnib al menos un mes antes de la finalización prevista del suministro del fármaco, se le enviará un correo electrónico solicitando que repita el pedido. Cada envío de lonafarnib contiene suministro para cuatro meses. Si esto cambia, se notificará a todos los participantes del MAP.
- El médico le dispensará entonces el fármaco a usted/su hijo/a.
- No todos los países permiten ofrecer MAP a sus residentes. El Anexo A incluye una lista de países y su situación respecto al MAP de lonafarnib. Si el país en que usted/su hijo/a reside no está en la lista, todavía podría ser posible el MAP. En este caso, contacte con The Progeria Research Foundation llamando al 978-535-2594 o enviando un correo electrónico a info@progeriaresearch.org. Por otra parte, su médico puede contactar con el equipo de acceso al medicamento (Medicine Access Team) de Clinigen llamando al +44 (0) 1932 824123 o enviando un correo electrónico a medicineaccess@clinigengroup.com.

3. ¿Qué se necesita para ser apto para el programa de acceso controlado?

Para ser apto/a para el MAP, usted/su hijo/a deben tener al menos 12 meses de edad y cumplir todos los criterios siguientes:

1. Un diagnóstico de SPHG (progeria) o una laminopatía progeroide.
2. Análisis de sangre para asegurarse de que su hígado y riñones o los de su hijo/a pueden procesar lonafarnib adecuadamente.
3. Ninguna infección no controlada ni otra enfermedad grave que puedan hacer que no sea seguro para usted/su hijo/a participar en el MAP.
4. Un resultado negativo en la prueba de embarazo en caso de ser mujer y estar en edad fértil.
5. Algunos medicamentos y alimentos no se podrán tomar mientras usted/su hijo/a esté tomando lonafarnib. Su médico los comentará con usted. Se aconseja precaución al usar lonafarnib y cualquier sustrato sensible de CYP3A e inhibidores o inductores potentes o moderados de CYP3A. Estos medicamentos pueden alterar el metabolismo de lonafarnib. Hable con su médico sobre los medicamentos que cumplan alguno de estos criterios.
 - a. Informe a su médico de todos los medicamentos y remedios a base de hierbas que esté tomando. Algunos medicamentos y remedios a base de hierbas se pueden clasificar como inhibidores o inductores de CYP3A. Esto significa que pueden alterar el metabolismo de lonafarnib. Las personas que tomen lonafarnib deben dejar de usar remedios a base de hierbas, medicamentos y alimentos (zumo de pomelo y naranjas amargas) que inhiban o induzcan CYP3A.

El Anexo B incluye todos los criterios de inclusión y exclusión del MAP. Su médico necesitará ver ambos grupos de criterios.

4. ¿Durante cuánto tiempo se puede tratar a un paciente con lonafarnib como parte del programa de acceso controlado?

- Eiger continuará proporcionando acceso a lonafarnib a través de Clinigen hasta que usted decida abandonar el tratamiento o hasta que lonafarnib esté aprobado y se pueda comercializar en su país. Cuando se pueda comercializar, usted podrá obtener lonafarnib mediante una receta de su médico o el médico de su hijo/a.

5. ¿Con qué frecuencia tendré que visitar a mi médico para recoger lonafarnib durante el programa?

- Usted o su cuidador deben planificar la recogida de lonafarnib de su médico al menos cada cuatro meses.

6. Cuando esté correctamente registrado/a en el MAP, ¿cómo sigo obteniendo el suministro de lonafarnib?

- Su médico hará un pedido de lonafarnib mediante un sistema electrónico ofrecido por Clinigen. Se enviará el lonafarnib a su médico y, por lo general, usted/su cuidador podrán recogerlo en su consulta.

7. ¿Cómo se registra mi médico en el MAP?

- Su médico se registrará en el MAP llamando a Clinigen al +44 (0) 1932 824123 o enviando un correo electrónico a medicineaccess@clinigengroup.com. Su médico es la única persona que le puede registrar a usted en el MAP. Los pacientes o cuidadores **no** deben contactar con Clinigen con respecto al registro en el MAP.

8. ¿Quién asistirá con información sobre los efectos secundarios relacionados con lonafarnib o si tengo preguntas mientras tomo lonafarnib?

- Su médico tratará sus efectos secundarios. Si su médico tiene alguna pregunta, puede contactar con el departamento de Asuntos Médicos (Medical Affairs) de Eiger enviando un correo electrónico a ProgeriaMA@eigerbio.com. El médico deberá proporcionar su información de contacto en el correo electrónico. Esto permitirá a Eiger llamar si las preguntas no se pueden responder por correo electrónico.

9. En caso de un acontecimiento adverso grave, ¿con quién se debe contactar?

- El paciente y el médico siguen teniendo la responsabilidad de notificar acontecimientos adversos graves relacionados con el uso de lonafarnib de acuerdo con los requisitos de las autoridades sanitarias nacionales.
- Novella es la empresa que proporciona todos los servicios de notificación de seguridad para el MAP. Como tales, los acontecimientos adversos graves (AAG) se deben notificar usando el formulario de notificación de AAG de Novella disponible en el sistema Cliniport. Los médicos también pueden llamar directamente a Novella usando la guía de números de teléfono internacionales incluida en el sistema Cliniport.
- **NO SE DEBE** notificar a Clinigen ningún tipo de acontecimiento adverso.

10. ¿Con quién debo hablar si tengo más preguntas respecto al programa de acceso controlado a lonafarnib?

- Los pacientes o cuidadores siempre deben empezar por preguntar a sus médicos. En caso de que su médico o el de su hijo/a no pueda responder a la pregunta, puede contactar con el equipo de acceso a medicamentos (Medicine Access Team) de Clinigen en el +44 (0) 1932 824123 o enviando un correo electrónico a medicineaccess@clinigengroup.com. El médico también puede enviar un correo electrónico a Eiger a ProgeriaMA@eigerbio.com. Los pacientes o cuidadores **no** deben contactar con Clinigen. En lugar de ello, los pacientes y cuidadores deben contactar solamente con The Progeria Research Foundation en el 978-535-2594 o enviando un correo electrónico a info@progeriaresearch.org.

Anexo A

Situación del programa de acceso controlado por países

Si el país que le interesa no está en ninguna de estas listas, contacte con The Progeria Research Foundation en el 978-535-2594 o enviando un correo electrónico a info@progeriaresearch.org.

Países con MAP de lonafarnib disponible en junio de 2019			
Sí	Estados Unidos	Sí	Kazajstán
Sí	Argelia	Sí	México
Sí	Argentina	Sí	Namibia
Sí	Australia	Sí	Omán
Sí	Bangladesh	Sí	Pakistán
Sí	Brasil	Sí	Portugal
Sí	Canadá	Sí	Rusia
Sí	China	Sí	Serbia
Sí	Colombia	Sí	Sudáfrica
Sí	Dinamarca	Sí	Corea del Sur
Sí	República Dominicana	Sí	España
Sí	Francia	Sí	Suecia
Sí	India	Sí	Ucrania
Sí	Indonesia	Sí	Reino Unido
Sí	Israel		

Países en los que el MAP de lonafarnib estará disponible*	
Bélgica	Filipinas
Egipto	Polonia
Alemania	Arabia Saudí
Iraq	Taiwán
Italia	Turquía
Japón	

*Se desconoce el momento exacto en que el MAP estará disponible en estos países. Si usted/su hijo/a es de alguno de estos países y está interesado/a en participar en el MAP de lonafarnib, contacte con The Progeria Research Foundation.

Países en los que el MAP de lonafarnib NO estará disponible**	
Honduras	Tayikistán
Libia	Tanzania
Nepal	Togo
Palestina-Gaza	
Sri Lanka	
Surinam	

**Esta lista podría no estar completa. Si usted/su hijo/a es de alguno de estos países y está interesado/a en acceder a lonafarnib para el SPHG o alguna LP, contacte con The Progeria Research Foundation.

Anexo B

Criterios de inclusión y de exclusión

Esta sección contiene lenguaje médico y su objetivo principal es hacer posible que usted se comunique con su médico/el médico de su hijo/a.

Criterios de inclusión

Los pacientes deben cumplir todos los siguientes criterios de inclusión para ser aptos para su inscripción en el programa.

1. Diagnóstico clínico de SPHG o laminopatía progeroide establecido por un médico cualificado (basado en un fenotipo común tal como se describe en Gordon et al, 2015 y Meredith et al, 2008). Es preferible, pero no necesaria, la confirmación mediante prueba genética.
2. El paciente tiene más de 12 meses de edad.
3. Los pacientes deben tener una función hepática adecuada definida por SGPT (ALT) y SGOT (AST) ≤ 5 veces el límite superior del rango normal para su edad
4. Se debe obtener el consentimiento/asentimiento informado firmado por el/los progenitor(es) o tutor(es) antes de cualquier procedimiento del programa.

Criterios de exclusión

Los pacientes que cumplan **cualquiera** de los siguientes criterios serán excluidos del programa:

1. Los pacientes no deben estar tomando medicamentos ni alimentos que sean inductores o inhibidores moderados o potentes de CYP3A4 o sustratos sensibles de CYP3A (se proporciona una lista con el consentimiento informado).
2. Los pacientes no deben estar tomando digoxina, un sustrato de gp-P con un estrecho intervalo terapéutico.
3. Los pacientes no deben tener infecciones no controladas.
4. Los pacientes no deben tener disfunción hepática manifiesta.
5. Los pacientes no deben tener ninguna afección médica activa clínicamente relevante que, en la opinión de su médico, pudiera impedir que participen en el programa con seguridad.
6. Los pacientes no deben tener hipersensibilidad conocida o sospechada a ninguno de los excipientes incluidos en la formulación.
7. Las pacientes no deben estar embarazadas ni en periodo de lactancia ni planear quedarse embarazadas mientras estén en tratamiento.