

**Інформація про програму керованого надання (МАР)  
недоступного препарату лонафарнібу  
Питання і відповіді для пацієнтів, осіб, які здійснюють догляд, і лікарів  
Червень 2019 р.**

Компанія Eiger BioPharmaceuticals, виробник препарату лонафарніб, спонсорує Програму керованого надання недоступного препарату (Managed Access Program, МАР). Метою цієї МАР є надання пацієнтам з синдромом прогерії Хатчінсона-Гілфорда (СПХГ [Hutchinson-Gilford Progeria Syndrome, HGPS] або прогерія) або прогероїдною ламінопатією (ПЛ [Progeroid Laminopathy, PL]), які відповідають критеріям участі, доступу до лікування лонафарнібом. Програма керованого надання недоступного препарату надає лонафарніб 3 категоріям пацієнтів з СПХГ і ПЛ, які відповідають критеріям участі:

- 1) пацієнтам, які ніколи раніше не приймали лонафарніб;**
- 2) пацієнти, які приймали лонафарніб раніше, але не приймають лонафарніб зараз;**
- 3) пацієнти, які приймали лонафарніб в рамках клінічного випробування і хотіли би продовжити лікування лонафарнібом після завершення своєї участі у клінічному випробуванні. Якщо Ви/Ваша дитина в даний час приймає участь у випробуванні при Бостонській дитячій лікарні і Ви/Ваша дитина берете участь у тій частині дослідження, яка включає препарат еверолімус, у Вас буде можливість отримати лонафарніб за програмою МАР після завершення випробування. Якщо Ви/Ваша дитина берете участь в додатковому дослідженні при Бостонській дитячій лікарні і в даний час приймає ЛІШЕ лонафарніб, Ви/Ваша дитина перейдете в МАР. Перехід буде ретельно спланований, щоб прийом препарату не припинявся.**

В даний час лонафарніб вважається досліджуваним лікуванням синдрому прогерії Хатчінсона-Гілфорда і прогероїдної ламінопатії. На момент написання даного повідомлення лонафарніб не був схвалений для продажу жодним зі світових регулюючих органів. Іншими словами, Ви не можете піти в місцеву аптеку і за рецептом Вашого лікаря/лікаря Вашої дитини отримати препарат.

Для пацієнтів з СПХГ і ПЛ, які відповідають критеріям і проживають в країні, де дозволяється надавати лонафарніб в рамках МАР, це буде єдиним способом отримання доступу до препарату, якщо Ви/Ваша дитина все ще не берете участь в дослідженні при Бостонській дитячій лікарні, що включає лонафарніб. МАР лонафарнібу буде діяти до тих пір, поки у Вашій країні не буде поставлятися лонафарніб для лікування СПХГ і ПЛ в комерційних цілях. Якщо це зміниться, всі учасники МАР будуть повідомлені.

На наступних сторінках наведено список питань і відповідей, а також додатки А і Б.

## Питання та відповіді

### 1. Що таке програма керованого надання недоступного препарату (МАР)?

- Програма керованого надання недоступного препарату дозволяє пацієнтові, який відповідає критеріям участі, зі станом, що загрожує життю, отримати доступ до препарату, який ще не було схвалено регулюючим органом країни пацієнта для комерційного продажу.

### 2. Що мені потрібно зробити, щоб взяти участь в програмі керованого надання недоступного препарату лонафарнібу?

- Всі пацієнти, які бажають взяти участь в МАР лонафарнібу, повинні мати місцевого лікаря, який готовий виконати вимоги програми.
- Оскільки лонафарніб є досліджуваним лікарським препаратом, дуже важливо, щоб лікар кожного пацієнта розумів, як використовувати лонафарніб для лікування пацієнтів з СПХГ або прогероїдною ламінопатією. Важлива інформація буде надана лікуючому лікарю після реєстрації в МАР лонафарнібу.
- Компанія Eiger BioPharmaceuticals використовує висококваліфіковану компанію Clinigen, щоб допомогти місцевим лікарям перевести Вас/Вашу дитину в МАР. Компанія Clinigen також контролюватиме програму на постійній основі.
- Лікар відповідає за реєстрацію свою і Вас/Вашої дитини в компанії Clinigen. Реєстрація повинна бути виконана місцевим лікарем. Це досягається шляхом звернення в компанію Clinigen. Сім'ї/пацієнти не можуть реєструватися самостійно.
- Лікуючий лікар гарантує, що компанія Clinigen володіє всією необхідною інформацією, щоб лонафарніб можна було розподіляти належним чином.
- Після успішного включення лікарем і перевірки відповідності критеріям програми пацієнтом, лікуючий лікар замовляє лонафарніб для дітей у компанії Clinigen.
- Лонафарніб доставляється в офіс місцевого лікаря або в аптеку лікарні/клініки. Лікуючий лікар може замовити лонафарніб за 6 тижнів до закінчення запасу лонафарнібу у пацієнта. Якщо лікар не замовив лонафарніб принаймні за місяць до того, як очікується, що запас ліків буде вичерпано, лікарю буде надіслано повідомлення електронною поштою з нагадуванням про необхідність повторного замовлення. Кожна партія лонафарнібу містить запас на 4 місяці. Якщо це зміниться, всі учасники МАР будуть повідомлені.
- Потім лікар видасть ліки Вам/Вашій дитині.
- Не всі країни дозволяють пропонувати МАР своїм жителям. Додаток А включає список країн і їх статус МАР лонафарнібу. Якщо країни, в якій Ви / Ваша дитина проживаєте, немає в списку, МАР все ще може бути можливою. У цій ситуації, будь ласка, зв'яжіться з Дослідницьким фондом прогерії по телефону 978-535-2594 або електронною поштою [info@progeriaresearch.org](mailto:info@progeriaresearch.org). І навпаки, лікуючий лікар може зв'язатися з Групою доступу до ліків компанії Clinigen по телефону +44 (0) 1932 824123 або електронною поштою [medicineaccess@clinigengroup.com](mailto:medicineaccess@clinigengroup.com).

### **3. Що потрібно для відповідності критеріям участі в програмі керованого надання недоступного препарату?**

Щоб відповідати критеріям участі в MAP, Ви/Ваша дитина повинні мати не менше 12 місяців і відповідати всім наступним критеріям:

1. Діагноз СПХГ (прогерія) або прогероїдна ламінопатія.
2. Аналізи крові, щоб переконатися, що печінка і нирки у Вас/Вашої дитини можуть правильно переробляти лонафарніб.
3. Відсутність неконтрольованої інфекції або іншого серйозного медичного захворювання, яке може зробити участь в MAP небезпечним для Вас/Вашої дитини.
4. Негативний тест на вагітність, якщо Ви/Ваша дитина жіночої статі і дітородного віку.
5. Деякі ліки і продукти заборонено вживати, коли Ви/Ваша дитина приймає лонафарніб. Ваш лікар обговорить це з Вами. Слід з обережністю використовувати лонафарніб і будь-які чутливі субстрати CYP3A і сильні або помірні інгібітори або індуктори CYP3A. Ці ліки можуть змінити метаболізм лонафарнібу. Поговоріть з лікарем про лікарські препарати, які відповідають будь-якому з цих критеріїв.
  - a. Розкажіть лікарю про всі лікарські препарати і рослинні лікарські засоби, які Ви приймаєте. Деякі лікарські препарати і рослинні лікарські засоби можуть бути класифіковані як інгібітори або індуктори CYP3A. Це означає, що вони можуть змінити метаболізм лонафарнібу. Люди, які приймають лонафарніб, повинні припинити застосування рослинних лікарських засобів, лікарських препаратів і продуктів харчування (грейпфрутовий сік і апельсини Севільї), які інгібують або індукують CYP3A.

Додаток Б включає в себе всі критерії включення і невключення в MAP. Лікуючий лікар захоче побачити обидва набори критеріїв.

### **4. Як довго пацієнт може лікуватися лонафарнібом в рамках програми керованого надання недоступного препарату?**

- Компанія Eiger буде продовжувати надавати доступ до лонафарнібу через компанію Clinigen до тих пір, поки Ви не вирішите припинити лікування або поки він не буде схвалений і стане доступним для продажу у Вашій країні. Як тільки він надійде в

продаж, Ви зможете отримати лонафарніб за рецептом Вашого лікаря/лікаря Вашої дитини.

**5. Як часто під час програми мені потрібно буде відвідувати мого лікаря, щоб забрати лонафарніб?**

- Ви або особа, яка здійснює догляд, повинні планувати візит, щоб забрати лонафарніб у лікуючого лікаря не рідше, ніж один раз на 4 місяці.

**6. Після того, як я успішно зареєструвався в MAP, як мені продовжити отримувати поповнення запасів лонафарнібу?**

- Лікуючий лікар розмістить замовлення на лонафарніб через онлайн-систему, запропоновану компанією Clinigen. Лонафарніб буде доставлений Вашому лікарю, і Ви/особа, яка здійснює догляд, як правило, зможете забрати препарат в офісі лікаря.

**7. Як мій лікар реєструється в MAP?**

- Ваш лікуючий лікар зареєструється в MAP, зателефонувавши в компанію Clinigen по телефону +44 (0) 1932 824123 або електронною поштою [medicineaccess@clinigengroup.com](mailto:medicineaccess@clinigengroup.com). Ваш лікуючий лікар - єдина людина, яка може зареєструвати Вас в MAP. Пацієнтам або особам, які здійснюють догляд, **не** слід звертатися в компанію Clinigen для реєстрації в MAP.

**8. Хто допоможе з інформацією про побічні ефекти, пов'язані з лонафарнібом, або якщо у мене виникнуть питання при прийомі лонафарнібу?**

- Ваш лікуючий лікар допоможе Вам з Вашими побічними ефектами. Якщо у Вашого лікаря є які-небудь питання, він/вона може зв'язатися з відділом з медичних питань компанії Eiger, відправивши електронного листа на адресу [ProgeriaMA@eigerbio.com](mailto:ProgeriaMA@eigerbio.com). Вашого лікаря попросять надати свою контактну інформацію в електронному листі. Це дозволить компанії Eiger зв'язатися по телефону, якщо на питання не можна буде відповісти електронною поштою.

**9. З ким слід зв'язатися в разі серйозного небажаного явища?**

- Пацієнт і лікар несуть відповідальність за повідомлення про серйозні небажані реакції, пов'язані із застосуванням лонафарнібу, відповідно до вимог місцевих органів охорони здоров'я.
- Novella - це компанія, що надає всі сервіси звітності з безпеки для MAP. Таким чином, про серйозні небажані реакції (СНЯ) слід повідомляти, використовуючи форму звітності Novella SAE (Novella СНЯ), доступну в системі Clinipoint. Лікарі можуть також

зателефонувати в компанію Novella безпосередньо, використовуючи всесвітній каталог телефонних номерів, що входить в систему Cliniport.

- У компанію Clinigen **НЕ СЛІД** повідомляти про будь-який тип небажаного явища.

#### **10. З ким мені поговорити, якщо у мене виникнуть додаткові питання щодо програми керованого надання недоступного препарату лонафарнібу?**

- Пацієнти або особи, які здійснюють догляд, завжди повинні спочатку запитувати своїх лікарів. У разі, якщо Ваш лікар/лікар Вашої дитини не може відповісти на це питання, він/вона може зв'язатися з Групою доступу до ліків компанії Clinigen по телефону +44 (0) 1932 824123 або електронною поштою [medicineaccess@clinigengroup.com](mailto:medicineaccess@clinigengroup.com). Лікар також може відправити електронний лист компанії Eiger на пошту [ProgeriaMA@eigerbio.com](mailto:ProgeriaMA@eigerbio.com). Пацієнтам або особам, які здійснюють догляд, **не** слід зв'язуватися з компанією Clinigen. Замість цього пацієнтам і особам, які здійснюють догляд, слід звертатися тільки в Дослідницький фонд прогерії по телефону 978-535-2594 або електронною поштою на адресу [info@progeriaresearch.org](mailto:info@progeriaresearch.org).

## Додаток А

### Статус країн у програмі керованого надання недоступного препарату

Якщо країни, яка Вас цікавить, немає ні в одному з цих списків, будь ласка, зв'яжіться з Дослідницьким фондом прогерії по телефону 978-535-2594 або надішліть листа електронною поштою на адресу [info@progeriaresearch.org](mailto:info@progeriaresearch.org).

<b>Країни, в яких є доступною MAP лонафарнібу на червень 2019 р.</b>				
Так	Сполучені Штати Америки		Так	Казахстан
Так	Алжир		Так	Мексика
Так	Аргентина		Так	Намібія
Так	Австралія		Так	Оман
Так	Бангладеш		Так	Пакистан
Так	Бразилія		Так	Португалія
Так	Канада		Так	Росія
Так	Китай		Так	Сербія
Так	Колумбія		Так	Південна Африка
Так	Данія		Так	Південна Корея
Так	Домініканська Республіка		Так	Іспанія
Так	Франція		Так	Швеція
Так	Індія		Так	Україна
Так	Індонезія		Так	Великобританія
Так	Великобританія			
<b>Країни, в яких MAP лонафарнібу стане доступною*</b>				
Бельгія			Філіппіни	
Єгипет			Польща	
Німеччина			Саудівська Аравія	
Ірак			Тайвань	
Італія			Туреччина	
Японія				

\*Точні терміни доступності MAP в цих країнах невідомі. Якщо Ви/Ваша дитина є з однієї з цих країн і Ви/Ваша дитина зацікавлені в участі в MAP лонафарнібу, будь ласка, зв'яжіться з Дослідницьким фондом прогерії.

<b>Країни, де MAP лонафарнібу НЕ буде доступною**</b>			
Гондурас			Таджикистан
Лівія			Танзанія
Непал			Того
Палестина-Газа			
Шрі Ланка			
Суринам			

\*\*Це може бути не повний список. Якщо Ви/Ваша дитина є з однієї з цих країн і хочете отримати доступ до лонафарнібу для лікування СПХГ або ПЛ, будь ласка, зв'яжіться з Дослідницьким фондом прогерії.

## Додаток Б

### Критерії включення і невключення

Цей розділ містить медичну термінологію і призначений, перш за все, для того, щоб Ви могли спілкуватися з Вашим місцевим лікарем/місцевим лікарем Вашої дитини.

#### Критерії включення

Пацієнти повинні відповідати всім наступним критеріям включення, щоб мати право на включення в програму.

1. Клінічний діагноз СПХГ або прогероїдної ламінопатії, встановлений лікарем (на основі загального фенотипу, як описано в Gordon et al, 2015 and Meredith et al, 2008). Підтвердження шляхом генетичного аналізу є пріоритетним, але не обов'язковим.
2. Пацієнт віком не менше 12 місяців
3. Пацієнти повинні мати адекватну функцію печінки, визначену за СГПТ (АЛТ) і СГОТ (АСТ) в  $\leq 5$  разів вищі верхньої межі нормального діапазону для віку
4. Підписана інформовану згоду/згоду батьків (одного з батьків) або опікуна(-ів) має бути отримано до початку будь-яких процедур програми

#### Критерії невключення

Пацієнти, які відповідають **будь-якому** з наступних критеріїв, не можуть бути включені в програму:

1. Пацієнти не повинні приймати лікарські препарати або продукти, які, як відомо, є помірними або сильними індукторами або інгібіторами CYP3A4 або чутливими субстратами CYP3A (список надано з інформованої згоди).
2. Пацієнти не повинні приймати дигоксин, субстрат P-гр, який має вузьке терапевтичне вікно.
3. У пацієнтів не повинно бути неконтрольованою інфекції.
4. Пацієнти не повинні мати явної печінкової дисфункції.
5. У пацієнтів не повинно бути активних клінічно значущих захворювань, які, на думку лікаря, не дозволили б їм безпечно брати участь в програмі.
6. Пацієнти не повинні мати відому або підозрювану гіперчутливість до будь-якого з наповнювачів, включених до складу.
7. Пацієнти жіночої статі не повинні бути вагітні, годувати грудьми або планувати завагітніти під час терапії.