

**Program kontrolisanog pristupa (Managed Access Program, MAP) za lonafarnib
Informacije, pitanja i odgovori za
pacijente, negovatelje i lekare
Septembar 2020.**

Eiger BioPharmaceuticals, proizvođač leka lonafarnib, sponzoriše Program kontrolisanog pristupa (MAP). Svrha ovog MAP-a je da omogući podobnim pacijentima sa Hačinson-Gilfordovim sindromom progerije (HGPS ili progerija) ili progeroidnom laminopatijom (PL) da dobiju pristup lečenju lonafarnibom. Program kontrolisanog pristupa obezbediće lonafarnib pacijentima sa HGPS i PL u 3 kategorije:

1) onima koji nikada ranije nisu uzimali lonafarnib;

2) onima koji su ranije uzimali lonafarnib, ali trenutno ne uzimaju lonafarnib;

3) onima koji su uzimali lonafarnib u sklopu kliničkog ispitivanja i želeli bi da nastave lečenje lonafarnibom po završetku učešća u kliničkom ispitivanju. Ako vi/vaše dete trenutno učestvujete u ispitivanju Dečije bolnice u Bostonu i vi/vaše dete ste u delu studije koji uključuje lek everolimus, imaćete priliku da primete lonafarnib preko MAP-a nakon završetka ispitivanja. Ako ste vi/vaše dete u podužetku studije ispitivanja Dečije bolnice u Bostonu i trenutno uzimate SAMO lonafarnib, vi/vaše dete ćete preći na MAP. Prelazak će biti pažljivo isplaniran kako bi snabdevanje lekom bilo neprekidno.

Lonafarnib se trenutno smatra ispitivanom terapijom za Hačinson-Gilfordov sindrom progerije i progeroidnu laminopatiju. Do pisanja ovog saopštenja, lonafarnib nije za stavljanje u promet odobrio nijedan od svetskih regulatornih organa. Drugim rečima, ne možete da odete u lokalnu apoteku sa receptom od svog lekara/lekara svog deteta i dobijete ovaj proizvod.

Za one podobne HGPS i PL pacijente sa prebivalištem u zemlji koja dozvoljava da se ponudi MAP za lonafarnib, to će biti isključivi način dobijanja pristupa leku, osim ako vi/vaše dete i dalje učestvujete u studiji koja uključuje lonafarnib u Dečijoj bolnici u Bostonu. MAP za lonafarnib će ostati funkcionalan dok komercijalna nabavka lonafarniba za HGPS i PL ne bude dostupna u vašoj zemlji. Ako se to promeni, svi učesnici MAP-a biće obavešteni.

Naredne strane uključuju listu pitanja i odgovora i Dodatke A i B.

Pitanja i odgovori

1. Šta je Program kontrolisanog pristupa (MAP)?

- Program kontrolisanog pristupa omogućava pacijentu sa stanjem opasnim po život da dobije pristup leku koji još uvek nije odobren od strane regulatornog organa njegove zemlje za komercijalnu prodaju.

2. Šta je potrebno da uradim da bih bio uzet u razmatranje za Program kontrolisanog pristupa za lonafarnib?

- Svi pacijenti koji žele da učestvuju u MAP-u moraju da imaju lokalnog lekara koji je voljan da ispuni zahteve programa.
- Budući da je lonafarnib ispitivani lek, veoma je važno da lekar svakog pacijenta razume kako se koristi lonafarnib u lečenju pacijenata sa HGPS-om ili progeroidnom laminopatijom. Važne informacije biće dostavljene nadležnom lekaru po njegovom uključivanju u MAP za lonafarnib.
- Kompanija Eiger BioPharmaceuticals koristi veoma iskusnu kompaniju pod nazivom Clinigen da pomogne vašem lokalnom lokalnom lekaru u prelasku vas/vašeg deteta na MAP. Kompanija Clinigen će takođe nadgledati program na tekućoj osnovi.
- Lekar je odgovoran da registruje sebe i vas/vaše dete kod kompanije Clinigen. Registraciju mora da obavi lokalni lekar. To će učiniti tako što će se obratiti kompaniji Clinigen. Porodice/pacijenti ne mogu sami da se registruju.
- Nadležni lekar se stara da kompanija Clinigen ima sve potrebne informacije kako bi lonafarnib mogao da se izdaje na odgovarajući način.
- Nakon uspešnog uključivanja od strane lekara i obezbeđivanja da pacijent ispunjava kriterijume programa, nadležni lekar naručuje detetov lonafarnib od kompanije Clinigen.
- Lonafarnib se dostavlja u ordinaciju lokalnog lekara ili u apoteku bolnice/klinike. Lonafarnib može da naruči nadležni lekar 6 nedelja pre nego što se potroše pacijentove zalihe lonafarniba. U slučaju da lekar nije naručio lonafarnib najmanje mesec dana pre nego što se očekuje da se zalihe leka potroše, lekaru će biti poslata poruka e-pošte kao podsetnik da izvrši ponovno naručivanje. Svaka isporuka lonafarniba sadrži 4-mesečnu zalihu. Ako se to promeni, svi učesnici MAP-a biće obavešteni.
- Lekar će zatim vama/vašem detetu izdati lek.
- Ne dozvoljavaju sve zemlje da se MAP ponudi njihovim stanovnicima. Dodatak A uključuje listu zemalja i njihov status po pitanju MAP-a za lonafarnib. MAP je možda ipak moguć iako zemlja u kojoj vi/vaše dete imate prebivalište nije navedena na listi. U tom slučaju, obratite se Fondaciji za istraživanje progerije na 978-535-2594 ili putem imejla na info@progeriaresearch.org. Takođe, nadležni lekar može da se obrati Timu za pristup lekovima kompanije Clinigen na +44 (0) 1932 824123 ili putem e-pošte medicineaccess@clinigengroup.com.

3. Šta je potrebno za podobnost u Programu kontrolisanog pristupa?

Da biste bili podobni za MAP, vi/vaše dete morate imati najmanje 12 meseci starosti i ispuniti sve sledeće kriterijume:

1. Dijagnoza HGPS-a (progerije) ili progeroidne laminopatije.
2. Testovi krvi da bi se proverilo da vaša jetra i bubrezi/jetra i bubrezi vašeg deteta mogu pravilno da obrađuju lonafarnib.
3. Bez nekontrolisane infekcije ili druge ozbiljne bolesti zbog koje bi moglo biti nebezbedno po vas/vaše dete da učestvujete u MAP-u.
4. Negativan test trudnoće ako ste vi/vaše dete ženskog pola i u reproduktivnom dobu.
5. Neki lekovi i neke namirnice se ne mogu uzimati dok vi/vaše dete uzimate lonafarnib. Vaš lekar može o tome razgovarati sa vama. Oprez se savetuje kod upotrebe lonafarniba i bilo kakvih osetljivih supstrata CYP3A i jakih ili umerenih inhibitora ili induktora CYP3A. Ti lekovi mogu da izmene metabolizam lonafarniba. Razgovarajte sa svojim lekarom o lekovima koji zadovoljavaju bilo koji od ovih kriterijuma.
 - a. Obavestite nadležnog lekara o svim lekovima i biljnim preparatima koje uzimate. Određeni lekovi i biljni preparati mogu se klasifikovati kao inhibitori ili induktori CYP3A. To znači da mogu da izmene metabolizam lonafarniba. Osobe koje uzimaju lonafarnib treba da prekinu upotrebu biljnih preparata, lekova i namirnica (sok od grejpfruta i seviljske pomorandže) koji inhibiraju ili indukuju CYP3A.

Dodatak B obuhvata potpune kriterijume za uključivanje i isključivanje za MAP. Nadležni lekar će morati da pregleda oba skupa kriterijuma.

4. Koliko dugo pacijent može da se leči lonafarnibom kao deo Programa kontrolisanog pristupa?

- Kompanija Eiger će nastaviti da pruža pristup lonafarnibu preko kompanije Clinigen sve dok ne odlučite da prekinete lečenje ili dok lonafarnib ne bude odobren i komercijalno dostupan u vašoj zemlji. Kada bude komercijalno dostupan, moći ćete da nabavite lonafarnib tako što ćete dobiti recept od svog nadležnog lekara.

5. Koliko često ću morati da posećujem svog lekara radi podizanja lonafarniba tokom programa?

- Vi ili vaš negovatelj treba da planirate podizanje lonafarniba od nadležnog lekara najmanje svaka 4 meseca.

6. Kada sam uspešno registrovan/na za MAP, kako ću da nastavim da dobijam dopune zaliha lonafarniba?

- Nadležni lekar će izvršiti narudžbu za lonafarnib putem onlajn sistema koji nudi kompanija Clinigen. Lonafarnib će se isporučivati vašem lekaru i vi/vaš negovatelj možete kao i obično da ga podignete u njegovoj ordinaciji.

7. Kako se moj lekar registruje za MAP?

- Vaš lekar će se registrovati za MAP tako što će pozvati kompaniju Clinigen na +44 (0) 1932 824123 ili putem e-pošte na medicineaccess@clinigengroup.com. Vaš nadležni lekar je jedina osoba koja može da vas registruje za MAP. Pacijenti ili negovatelji **ne** treba da kontaktiraju sa kompanijom Clinigen u vezi sa registracijom za MAP.

8. Ko će pomoći sa informacijama koje se tiču neželjenih dejstava povezanih sa lonafarnibom ili ako imam pitanja dok uzimam lonafarnib?

- Vaš nadležni lekar će kontrolisati vaša neželjena dejstva. Ako vaš lekar ima bilo kakvih pitanja, može da se obrati odeljenju za medicinska pitanja kompanije Eiger tako što će poslati poruku e-pošte na ProgeriaMA@eigerbio.com. Od vašeg lekara se traži da u poruci e-pošte dostavi svoje informacije za kontakt. To će omogućiti kompaniji Eiger da pozove ako se na pitanje/a ne može odgovoriti putem e-pošte.

9. Kome se treba obratiti u slučaju neželjenog događaja ili ozbiljnog neželjenog događaja?

- Pacijent i lekar ostaju odgovorni za prijavljivanje ozbiljnih neželjenih događaja povezanih sa upotrebom lonafarniba u skladu sa zahtevima lokalnih zdravstvenih organa.
- IQVIA je kompanija koja pruža sve usluge izveštavanja o bezbednosti za MAP. Prema tome, ozbiljne neželjene događaje (OND) i neželjene događaje (ND) treba prijavljivati pomoću obrasca za prijavu OND kompanije IQVIA koji je dostupan na Cliniport sistemu. Lekari takođe mogu direktno pozvati kompaniju IQVIA pomoću imenika globalnih telefonskih brojeva uključenih u Cliniport sistem.

10. Sa kim da razgovaram ako imam dodatna pitanja u vezi sa Programom kontrole pristupa za lonafamib?

- Pacijenti ili negovatelji uvek treba da počnu postavljanjem pitanja svojim lekarima. U slučaju da vaš lekar/lekar vašeg deteta ne može da odgovori na pitanje, lekar može da se obrati Timu za pristup lekovima kompanije Clinigen na +44 (0) 1932 824123 ili putem e-pošte na medicineaccess@clinigengroup.com. Lekar može da pošalje poruku e-pošte i kompaniji Eiger na ProgeriaMA@eigerbio.com. Pacijenti ili negovatelji **ne** treba da kontaktiraju sa kompanijom Clinigen. Umesto toga, pacijenti i negovatelji treba da se obrate samo Fondaciji za istraživanje progerije na broj 978-535-2594 ili slanjem poruke e-pošte na info@progeriaresearch.org.

Dodatak A

Status Programa za kontrolu pristupa za datu zemlju

Ukoliko vaša zemlja od interesa nije ni na jednoj od ovih lista, obratite se Fondaciji za istraživanje progerije na broj 978-535-2594 ili slanjem poruke e-pošte na info@progeriaresearch.org.

Zemlje sa MAP-om za lonafarnib dostupnim u septembru 2020.			
Da	Sjedinjene Države	Da	Kazahstan
Da	Alžir	Da	Luksemburg
Da	Argentina	Da	Malezija
Da	Australija	Da	Meksiko
Da	Bangladeš	Da	Namibija
Da	Brazil	Da	Oman
Da	Kanada	Da	Pakistan
Da	Kina	Da	Portugalija
Da	Kolumbija	Da	Rusija
Da	Danska	Da	Srbija
Da	Dominikanska Republika	Da	Južna Afrika
Da	Francuska	Da	Južna Koreja
Da	Indija	Da	Španija
Da	Indonezija	Da	Švedska
Da	Irska	Da	Ukrajina
Da	Izrael	Da	Ujedinjeno Kraljevstvo

Zemlje u kojima će MAP za lonafarnib postati dostupan*	
Belgija	Filipini
Egipat	Poljska
Nemačka	Saudijska Arabija
Irak	Tajvan
Italija	Turska
Japan	

*Tačan rok dostupnosti MAP-a u ovim zemljama nije poznat. Ukoliko ste vi/vaše dete iz neke od ovih zemalja i vi/vaše dete ste zainteresovani za učešće u MAP-u za lonafarnib, obratite se Fondaciji za istraživanje progerije.

Zemlje u kojima MAP za lonafarnib NEĆE biti dostupan**	
Honduras	Surinam
Libija	Tadžikistan
Nepal	Tanzanija
Palestina-Gaza	Togo
Šri Lanka	

**Ovo možda nije sveobuhvatna lista. Ukoliko ste vi/vaše dete iz neke od ovih zemalja i želite pristup lonafarnibu za HGPS ili PL, obratite se Fondaciji za istraživanje progerije.

Dodatak B

Kriterijumi za uključivanje i isključivanje

Ovaj odeljak je napisan medicinskim rečnikom i prvenstveno služi da možete da komunicirate sa svojim lokalnim lekarom/lokalnim lekarom svog deteta.

Kriterijumi za uključivanje

Pacijenti moraju da ispune sve sledeće kriterijume za uključivanje da bi mogli da se uključe u program.

1. Klinička dijagnoza HGPS-a ili progeroidne laminopatije od strane kvalifikovanog lekara (na osnovu zajedničkog fenotipa, kao što je opisano u Gordon et al, 2015 i Meredith et al, 2008). Potvrda sa genetskim testiranjem je poželjna, ali nije obavezna.
2. Pacijent ima više od 12 meseci
3. Pacijenti moraju da imaju adekvatnu hepatičku funkciju definisanu kao SGPT (ALT) i SGOT (AST) ≤ 5 puta od opsega gornje granice normalnog za svoj uzrast
4. Potpisan informisani pristanak/saglasnost roditelja ili staratelja mora se pribaviti pre bilo kakvih postupka u okviru programa

Kriterijumi za isključivanje

Pacijenti koji ispunjavaju **bilo koji** od sledećih kriterijuma neće biti uključeni u program:

1. Pacijenti ne smeju da uzimaju lekove ili namirnice za koje se zna da su umereni ili jaki induktori CYP3A4 ili osetljivih CYP3A supstrata (lista dostavljena uz informisani pristanak).
2. Pacijenti ne smeju da uzimaju digoksin, P-gp supstrat sa uskim terapijskim prozorom.
3. Pacijenti ne smeju imati nekontrolisanu infekciju.
4. Pacijenti ne smeju imati očiglednu hepatičku disfunkciju.
5. Pacijenti ne smeju da imaju aktivno klinički relevantno medicinsko stanje koje bi ih po mišljenju nadležnog lekara sprečilo da bezbedno učestvuju u programu.
6. Pacijenti ne smeju imati poznatu ili suspektnu preosetljivost ni na jedan od ekscipijenasa koji su uključeni u formulaciju.
7. Pacijenti ne smeju biti trudni ili dojeti ili planirati da zatrudne dok su na terapiji.