

برنامج الوصول المُدار (MAP) الخاص بلونافارنيب المعلومات، والأسئلة، والأجوبة للمرضى، ومقدمي الرعاية، والأطباء

ترعى Eiger BioPharmaceuticals، الشركة المُصنعة لعقار لونافارنيب، برنامج الوصول المُدار (MAP) للمرضى المؤهلين في الدول التي لم تتم الموافقة بعد على الدواء فيها للتوزيع التجاري. يهدف برنامج الوصول المُدار هذا إلى السماح للمرضى المؤهلين الذين يعانون من متلازمة الشبخوخة المبكرة هتشينسون-جيلفورد (HGPS أو البروجيريا) أو اعتلال الصفائح النووية الشائخة مبكرًا الناتج عن نقص المعالجة (PDPL) بالحصول على العلاج باستخدام لونافارنيب. سيكون برنامج الوصول المُدار متاحًا للمرضى المؤهلين الذين يعانون من متلازمة الشبخوخة المبكرة هتشينسون-جيلفورد (HGPS) أو اعتلال الصفائح النووية الشائخة مبكرًا الناتج عن نقص المعالجة (PDPL) في الفئات المُوضحة أدناه:

(1) أولئك الذين لم يسبق أن تناولوا عقار لونافارنيب من قبل؛

(2) أولئك الذين تناولوا عقار لونافارنيب من قبل ولكنهم لا يتناولونه حاليًا ولم يعد بإمكانهم الوصول إلى الدواء؛

(3) أولئك الذين تناولوا لونافارنيب كجزء من تجربة سريرية ويودون مواصلة العلاج بلونافارنيب عند الانتهاء من مشاركتهم في التجربة السريرية. إذا كنت أنت/طفلك تشارك حاليًا في التجربة في مستشفى بوسطن للأطفال وكنت أنت/طفلك في الجزء الذي يتضمن العقار يفيروليموس من الدراسة، فستتاح لك الفرصة لتلقي لونافارنيب من خلال برنامج الوصول المُدار بعد انتهاء التجربة. إذا كنت أنت/طفلك في دراسة التوسع للتجربة في مستشفى بوسطن للأطفال، وتتناول حاليًا لونافارنيب فقط، فستنتقل أنت/طفلك إلى برنامج الوصول المُدار. سيتم التخطيط للانتقال بعناية بحيث يظل تزويد العقار ثابتًا.

في نوفمبر 2020، تمت الموافقة على عقار لونافارنيب من قِبل إدارة الغذاء والدواء الأمريكية (FDA) تحت اسم العلامة التجارية كبسولات زوكيني 50 ملغ و75 ملغ. فيما يلي مؤشرات الاستخدام الرسمية:

يُوصف زوكيني للمرضى الذين تبلغ أعمارهم 12 شهرًا أو أكثر وتبلغ مساحة سطح الجسم (BSA) 0.39 م² وأكثر:

- للحد من خطر الوفاة في متلازمة الشبخوخة المبكرة هتشينسون-جيلفورد (HGPS)
- لعلاج اعتلال الصفائح النووية الشائخة مبكرًا الناتج عن نقص المعالجة إما عن طريق:
 - طفرة جين LMNA متغاير الزيجوت مع تراكم بروتين شبيه بالبروجرين
 - طفرات ZMPSTE24 متماثلة الزيجوت أو مركب متغاير الزيجوت

لا يُوصف زوكيني لعلاج متلازمات البروجيريا الأخرى أو علاج اعتلال الصفائح النووية الشائخة مبكرًا بكفاءة. وبناءً على آلية عمله، لا يُتوقع أن يكون زوكيني فعالاً في هذه الحالات.

على الرغم من موافقة إدارة الغذاء والدواء الأمريكية (FDA)، يعتبر عقار لونافارنيب حاليًا علاجًا تجريبيًا لمتلازمة الشبخوخة المبكرة هتشينسون-جيلفورد واعتلال الصفائح النووية الشائخة مبكرًا الناتج عن نقص المعالجة من قِبل بعض الدول. وهذا يعني أنه خارج الولايات المتحدة لا يمكنك الذهاب إلى صيدلية محلية بوصفة طبية والحصول على المنتج. بالنسبة لمرضى متلازمة الشبخوخة المبكرة هتشينسون-جيلفورد واعتلال الصفائح النووية الشائخة مبكرًا المؤهلين المقيمين في بلد يسمح بتقديم برنامج الوصول المُدار الخاص بعقار لونافارنيب، ستكون هذه هي الوسيلة الوحيدة للحصول على العقار، إلا إذا كنت أنت/طفلك لا تزال تشارك في دراسة مستشفى بوسطن للأطفال والتي تشمل عقار لونافارنيب. سيظل برنامج الوصول المُدار الخاص بعقار لونافارنيب تشغيليًا حتى يتوفر التزويد التجاري لعقار لونافارنيب لعلاج متلازمة الشبخوخة المبكرة هتشينسون-جيلفورد واعتلال الصفائح النووية الشائخة مبكرًا الناتج عن نقص المعالجة في بلدك. إذا حدث تغييرًا في الأمور، فسيتم إخطار جميع المشاركين في برنامج الوصول المُدار.

تتضمن الصفحات التالية قائمة بالأسئلة والإجابات والملحقين أ وب.

الأسئلة والإجابات

1. ما هو برنامج الوصول المُدار (MAP)؟

- يمكن برنامج الوصول المُدار المريض المؤهل الذي يعاني من حالة تهدد حياته من الحصول على دواء لم تتم الموافقة عليه للبيع التجاري بعد من قِبَل السلطة التنظيمية في بلده. لا يمكن تقديم البرنامج إلا من قِبَل جهة تصنيع الدواء.

2. ما الذي يجب عليّ فعله حتى يتم النظر في إدراجي في برنامج الوصول المُدار الخاص بلونافارنيب؟

- يجب أن يكون لدى جميع المرضى الذين يرغبون في المشاركة في برنامج الوصول المُدار الخاص بلونافارنيب طبيب محلي على استعداد للوفاء بمتطلبات البرنامج.
- نظرًا لأن عقار لونافارنيب هو منتج دوائي تجريبي، فمن المهم جدًا أن يفهم طبيب كل مريض كيفية استخدام عقار لونافارنيب في علاج المرضى الذين يعانون من متلازمة الشيوخة المبكرة هتشينسون-جيلفورد أو اعتلال الصفائح النووية الشائخة مبكرًا الناتج عن نقص المعالجة. سيتم تقديم معلومات مهمة للطبيب المعالج عند تسجيله في برنامج الوصول المُدار الخاص بلونافارنيب.
- تستخدم شركة Eiger BioPharmaceuticals شركة ذات خبرة عالية تسمى كلينجين لمساعدة طبيبك المحلي على نقلك أنت/طفلك إلى برنامج الوصول المُدار. كما ستشرف كلينجين على البرنامج بشكلٍ مستمر.
- الطبيب مسؤول عن تسجيل نفسه وتسجيلك أنت/طفلك لدى كلينجين. يجب إكمال التسجيل من قِبَل الطبيب المحلي. يتم ذلك عن طريق الاتصال بكلينجين. لا يمكن للأسر/المرضى تسجيل أنفسهم.
- يضمن الطبيب المعالج أن لدى كلينجين كل المعلومات المناسبة الضرورية لكي يتم توزيع لونافارنيب بشكلٍ مناسب.
- بعد التسجيل الناجح من قِبَل الطبيب والتأكد من استيفاء المريض لمعايير البرنامج، يطلب الطبيب الذي يعالج الطفل لونافارنيب من كلينجين.
- يتم تسليم عقار لونافارنيب إلى صيدلية عيادة/مستشفى الطبيب المحلي. يمكن أن يطلب الطبيب المعالج لونافارنيب قبل نفاذ إمدادات المريض من لونافارنيب بـ 6 أسابيع. في حالة عدم قيام الطبيب بطلب لونافارنيب قبل شهر واحد على الأقل من التاريخ المتوقع لانتهاؤ تزويد العقار، سيتم إرسال تذكير عبر البريد الإلكتروني إلى الطبيب لتسريع إعادة الطلب. تحتوي كل شحنة من لونافارنيب على إمدادات لمدة 4 أشهر. إذا تغير هذا، فسيتم إخطار جميع المشاركين في برنامج الوصول المُدار.
- سيقوم الطبيب عندئذ بتوزيع العقار لك/طفلك.
- لا تسمح جميع البلدان بتقديم برامج الوصول المُدارة إلى سكانها. يتضمن الملحق أ قائمة بالدول وحالة برنامج الوصول المُدار الخاص بلونافارنيب لديها. إذا لم يكن البلد الذي تقيم فيه أنت/طفلك موجودًا على القائمة، فقد يظل برنامج الوصول المُدار ممكنًا. في هذه الحالة، يُرجى الاتصال بمؤسسة دراسة الشيوخة المبكرة على الرقم 978-535-2594 أو إرسال رسالة بريد إلكتروني إلى info@progeriaresearch.org. بالمقابل، يمكن للطبيب المعالج الاتصال بفريق الحصول على الدواء في كلينجين على 1932 824123 (0) 44+ أو عن طريق البريد الإلكتروني medicineaccess@clinigen.com.

3. ما المطلوب للتأهل لبرنامج الوصول المُدار؟

لتكون مؤهلاً لبرنامج الوصول المُدار، يجب أن يكون عمرك/عمر طفلك 12 شهرًا على الأقل وأن تفي بجميع المعايير التالية:

1. اختبار جيني لتأكيد تشخيص الإصابة إما بمتلازمة الشيوخة المبكرة هتشينسون-جيلفورد (البروجيريا) أو اعتلال الصفائح النووية الشائخة مبكرًا الناتج عن نقص المعالجة.
2. اختبارات دم للتأكد من أن الكبد والكليتين لديك/لدى طفلك قادرون على معالجة لونافارنيب بشكلٍ صحيح.
3. لا توجد أي عدوى غير خاضعة للسيطرة أو أي مرض طبي خطير قد يجعل من المشاركة في برنامج الوصول المُدار غير آمن لك/طفلك.
4. اختبار حمل سلبي النتيجة إذا كنت أنت/طفلك أنثى في سن الإنجاب.

5. لا يمكن تناول بعض الأدوية وبعض الأطعمة أثناء تناولك أنت/طفلك لونافارنيب. سناقش طبيبك هذه الأمور معك. يجب ألا تستخدم عقار لونافارنيب مع مثبطات أو محفزات CYP3A قوية أو متوسطة. يجب عدم استخدام عقار لونافارنيب مع ميدازولام. يجب عدم استخدام عقار لونافارنيب مع ستاتينات أتورفاستاتين أو لوفاستاتين أو سيمفاستاتين. يمكن لهذه الأدوية تغيير أيض لونافارنيب. تحدّث مع طبيبك حول الأدوية التي تفي بأي من هذه المعايير.

أ. أخبر الطبيب المعالج عن جميع الأدوية والعلاجات العشبية التي تتناولها. قد تصنف بعض الأدوية والعلاجات العشبية على أنها مثبطات أو محفزات CYP3A. هذا يعني أنها قد تغير أيض لونافارنيب. يجب على الأشخاص الذين يتناولون عقار لونافارنيب التوقف عن استخدام العلاجات العشبية والأدوية والأطعمة (عصير الجريب فروت وبرتقال إشبيلية) التي تُثبّط CYP3A أو تحفزها. يُرجى الاطلاع على معلومات الوصفة الطبية الكاملة المعتمدة من إدارة الغذاء والدواء على www.zokinvy.com.

ب. يجب ألا يتناول المرضى الذين يتناولون عقار لونافارنيب ميدازولام. إذا كانت هناك حاجة لإجراء جراحي حيث سيتم استخدام ميدازولام، فتوقف عن استخدام لونافارنيب مؤقتًا لمدة 10-14 يومًا قبل تناول ميدازولام وبعده بيومين أثناء الإجراء الجراحي. يُرجى الاطلاع على معلومات الوصفة الطبية الكاملة المعتمدة من إدارة الغذاء والدواء على www.zokinvy.com.

ج. يجب ألا يتناول المرضى الذين يتناولون عقار لونافارنيب أتورفاستاتين أو لوفاستاتين أو سيمفاستاتين.

يتضمن الملحق ب معايير الأهلية وعدم الأهلية الكاملة لبرنامج الوصول المُدار. سيرغب الطبيب المعالج برؤية كلتا المجموعتين من المعايير.

4. ما المدة التي يمكن علاج المريض خلالها باستخدام لونافارنيب كجزء من برنامج الوصول المُدار؟

• ستواصل Eiger إتاحة الحصول على عقار لونافارنيب من خلال كلينيجين حتى يكون الدواء متاحًا بشكل عام أو حتى تقرر التوقف عن العلاج أو حتى يتم اعتماد عقار لونافارنيب من قِبَل هيئة تنظيمية في بلدك وإتاحته تجاريًا فيها. بمجرد توفر عقار لونافارنيب تجاريًا، ستتمكن من الحصول عليه من خلال الحصول على وصفة طبية من الطبيب الذي يعالجك أنت/طفلك. قد تؤدي بعض الظروف غير المعروفة إلى تغييرات في برنامج الوصول المُدار. تحافظ Eiger على قدرتها على تغيير برنامج الوصول المُدار في أي وقت. إذا تم تغيير البرنامج، فسيتم إعلام الأطباء المُسجلين بالتغيير/التغييرات وسيسهلون التواصل مع المريض أو الوصي القانوني عليه.

5. كم مرة سأحتاج لزيارة طبيبي لأخذ لونافارنيب أثناء البرنامج؟

• يجب أن تخطط أنت أو مقدم الرعاية المتابع لك لأخذ عقار لونافارنيب من الطبيب المعالج كل 4 أشهر تقريبًا ما لم يتم إبلاغك بخلاف ذلك.

6. بمجرد التسجيل بنجاح في برنامج الوصول المُدار، كيف يمكنني الاستمرار في الحصول على عبوات لونافارنيب؟

• سيقوم الطبيب المعالج بتقديم طلب للحصول على لونافارنيب من خلال نظام عبر الإنترنت تقدمه كلينيجين. سيتم شحن عقار لونافارنيب إلى المستشفى المحدد لطبيبك ويمكن عادةً أن تأخذه أنت/مقدم الرعاية المتابع لك من هذا المكان.

7. مَن سيساعد في المعلومات المتعلقة بالآثار الجانبية المرتبطة بلونافارنيب أو إذا كانت لدي أسئلة أثناء تناول عقار لونافارنيب؟

- سيقوم الطبيب المعالج بإدارة الآثار الجانبية لديك. إذا كانت لدى طبيبك أي أسئلة، فيمكنه الاتصال بقسم الشؤون الطبية في Eiger من خلال إرسال رسالة بريد إلكتروني إلى ProgeriaMA@eigerbio.com. يُطلب من طبيبك إعطاء معلومات الاتصال الخاصة به في البريد الإلكتروني. سيمكن هذا Eiger من الاتصال إذا لم يكن بالإمكان الإجابة عن السؤال/الأسئلة بالبريد الإلكتروني.

8. في حال حدوث أثر عكسي خطير، أو أي أثر عكسي بمن يجب الاتصال؟

- يتحمل المريض والطبيب مسؤولية الإبلاغ عن كلا الآثار العكسية الخطيرة والآثار العكسية المرتبطة باستخدام عقار لونافارنيب وفقاً لمتطلبات السلطة الصحية المحلية.
- إيكوفيا (IQVIA) هي الشركة التي تقدم جميع خدمات تقارير السلامة لبرنامج الوصول المُدار. على هذا النحو، يجب الإبلاغ عن الآثار العكسية الخطيرة (SAEs) وأي آثار عكسية باستخدام نموذج الإبلاغ عن الآثار العكسية الخطيرة الخاص بإيكوفيا (IQVIA SAE) والمتاح على نظام كلينيپورت. يمكن للأطباء أيضاً الاتصال بإيكوفيا مباشرةً باستخدام رقم الهاتف العالمي المُضمَّن في نظام كلينيپورت.
- يجب إبلاغ إيكوفيا فقط عن الآثار العكسية الخطيرة وأي آثار عكسية.
- يجب إبلاغ كلينيپورت فقط عن الآثار العكسية الخطيرة وأي آثار عكسية.

9. مع من أتحدث إذا كانت لدي أسئلة إضافية بخصوص برنامج الوصول المُدار الخاص بلونافارنيب؟

- يجب أن يبدأ المرضى أو مقدمو الرعاية دائماً بطرح الأسئلة على أطبائهم. في حال عدم مقدرة طبيبك/طبيب طفلك الإجابة على السؤال، يمكن للطبيب الاتصال بفريق الحصول على الدواء في كلينيپورت على 1932 824123 (0) 44+ أو عن طريق البريد الإلكتروني medicineaccess@clinigengroup.com. يمكن للطبيب أيضاً إرسال بريد إلكتروني إلى Eiger على ProgeriaMA@eigerbio.com. لا ينبغي على المرضى أو مقدمي الرعاية الاتصال بكلينيپورت. بدلاً من ذلك، يجب على المرضى ومقدمي الرعاية فقط الاتصال بمؤسسة دراسة الشيخوخة المبكرة على الرقم 978-535-2594 أو عن طريق إرسال رسالة بريد إلكتروني إلى info@progeriaresearch.org.

الملحق أ

حالة برنامج الوصول المُدار الخاص بالدول

إذا لم تكن الدولة المعنية مدرجة في أي من هذه القوائم، فيرجى الاتصال بمؤسسة دراسة الشيخوخة المبكرة على الرقم -978 535-2594 أو عن طريق إرسال رسالة بريد إلكتروني إلى info@progeriaresearch.org.

الدول المتاحة بها برنامج الوصول المُدار الخاص بعقار لونافارنيب مارس 2021	
الجزائر	كازاخستان
الأرجنتين	لوكسمبورغ
أستراليا	ماليزيا
بنجلاديش	المكسيك
البرازيل	ناميبيا
بلجيكا	عمان
كندا	باكستان
الصين	الفلبين
كولومبيا	بولندا
الدنمارك	البرتغال
جمهورية الدومنيكان	روسيا
مصر	المملكة العربية السعودية
فرنسا*	صربيا
ألمانيا	جنوب أفريقيا
الهند	كوريا الجنوبية
إندونيسيا	إسبانيا
العراق	السويد
أيرلندا	تايوان
إسرائيل	تايلاند
إيطاليا*	تركيا
اليابان	أوكرانيا

*قد توجد برامج حكومية منفصلة في هذه الدول. في حالة عدم توفر هذه البرامج الحكومية، يمكن النظر في وضع برنامج الوصول المُدار في الاعتبار.

البلدان التي لن يتوفر فيها برنامج الوصول المُدار الخاص بلونافارنيب**	
هندوراس	سيريلانكا
إيران	سورينام
ليبيا	تاجيكستان
نيبال	تنزانيا
فلسطين- غزة	توجو

**قد لا تكون هذه قائمة شاملة. إذا كنت أنت/طفلك من إحدى هذه البلدان وتريد الحصول على لونافارنيب لـ HGPS أو PLS، فيرجى الاتصال بمؤسسة دراسة الشيخوخة المبكرة.

الملحق ب

معايير الأهلية وعدم الأهلية

يحتوي هذا القسم على لغة طبية ويهدف في المقام الأول إلى جعلك قادرًا على التواصل مع طبيبك/طبيب طفلك المحلي.

معايير الأهلية

يجب على المرضى استيفاء كل معايير الأهلية التالية للانضمام إلى البرنامج.

1. عمر المريض 12 شهرًا أو أكثر.
2. يجب أن يخضع المريض لاختبار جيني يؤكد تشخيص إصابته إما بمتلازمة الشخوخة المبكرة هتشنيسون-جيلفورد أو اعتلال الصفائح النووية الشائخة مبكرًا الناتج عن نقص المعالجة (نقص معالجة طفرة جين LMNA متغاير الزيغوت مع تراكم بروتين شبيه بالبروجيرين أو طفرات ZMPSTE24 متماثلة الزيغوت أو مركب متغاير الزيغوت).
3. يجب أن تكون وظائف الكبد لدى المرضى كافية على النحو المحدد في SGPT (ALT) و SGOT (AST) ≥ 5 مرات من الحد الأعلى من المعدل الطبيعي للعمر.
4. يجب الحصول على موافقة مستنيرة/إقرار موقعة من الوالد (الوالدين) أو الوصي (الأوصياء) قبل أي إجراءات للبرنامج.
5. يجب أن تخضع المريضات الإناث في سن الإنجاب أو النشيطات جنسيًا لاختبار حمل قبل بدء تناول عقار لونافارنيب.

معايير عدم الأهلية

سيتم استبعاد المرضى الذين تنطبق عليهم أيًا من المعايير التالية من البرنامج:

1. يجب ألا يكون لدى المرضى أي عدوى غير خاضعة للسيطرة.
2. يجب ألا يكون لدى المرضى حالة طبية نشطة ذات صلة سريرية والتي يرى الطبيب المعالج أنها تمنعهم من المشاركة بأمان في البرنامج.
3. يجب ألا يكون لدى المرضى فرط حساسية معروف أو مشتبه به لأي من السواغات المشمولة في التركيبة.
4. يجب ألا تكون المريضات حوامل أو ترضعن إرضاعًا طبيعيًا أو تخططن للحمل أثناء العلاج.