

**Pinangangasiwaan na Akses sa Programa ng Lonafarnib (Managed Access Program, MAP)**  
**Impormasyon, Mga Tanong at Sagot para sa mga Pasyente, Tagapag-alaga at Doktor**

Ang Eiger BioPharmaceuticals, ang tagagawa ng gamot na lonafarnib, ang nag-iisponsor sa isang Pinangangasiwaan na Akses sa Programa (MAP) para sa mga karapat-dapat na pasyente sa mga bansa kung saan ang gamot ay hindi pa naaprubahan para sa pangkomersyong pamamahagi. Ang layunin ng MAP na ito ay upang payagan ang mga karapat-dapat na pasyente na may Hutchinson-Gilford Progeria Syndrome (HGPS o Progeria) o processing deficient na Progeroid Laminopathy (PDPL) na magkaroon ng akses sa paggamot gamit ang lonafarnib. Ang Pinangangasiwaan na Akses sa Programa ay magagamit ng mga karapat-dapat na pasyente na may HGPS o PDPL sa mga kategoryang inilarawan sa ibaba:

- 1) ang mga hindi pa kailanman gumamit ng lonafarnib dati;**
- 2) ang mga gumamit ng lonafarnib dati ngunit hindi gumagamit ng lonafarnib sa kasalukuyan at wala nang akses sa gamot;**
- 3) ang mga gumagamit na ng lonafarnib bilang bahagi ng isang klinikal na pagsubok at nais na ipagpatuloy ang paggamot gamit ang lonafarnib sa pagkakumpleto ng kanilang pakikilahok sa klinikal na pagsubok. Kung ikaw/ang iyong anak ay kasalukuyang nakikilahok sa pagsubok sa Boston Children's Hospital at ikaw/ang iyong anak ay nasa bahagi ng pag-aaral na kasama ang gamot na everolimus, magkakaroon ka ng pagkakataon na makatanggap ng lonafarnib sa pamamagitan ng MAP pagkatapos ng pagsubok. Kung ikaw/ang iyong anak ay nasa ekstensyon na pag-aaral ng pagsubok sa Boston Children's Hospital, at kasalukuyang gumagamit LAMANG ng lonafarnib, ikaw/ang iyong anak unti-unting lilipat sa MAP. Maingat na paplanuhin ang paglipat upang ang mananatiling pare-pareho ang supplay ng gamot.**

Noong Nobyembre 2020, ang lonafarnib ay inaprubahan ng United States Food and Drug Administration (FDA) sa ilalim ng pangalan ng brand na Zokinvy 50mg at 75mg na mga kapsula. Ang pormal na mga indikasyon ng paggamit ay ang mga sumusunod:

Ang Zokinvy ay naka-indikasyon sa mga pasyente na 12 buwan ang edad at mas matanda na may laki ng ibabaw ng katawan (body surface area, BSA) na  $0.39 \text{ m}^2$  at pataas:

- Upang mabawasan ang panganib ng pagkamatay sa HGPS
- Para sa paggamot ng processing deficient na progeroid laminopathies na alinman sa:
  - Heterozygous LMNA na mutasyon na may akumulasyon ng parang progerin na protina
  - Homozygous o compound heterozygous ZMPSTE24 na mga mutasyon

Ang Zokinvy ay hindi naka-indikasyon para sa ibang mga Progeroid Syndrome o processing-proficient na Progeroid Laminopathies. Batay sa mekanismo ng pagkilos nito, ang Zokinvy ay hindi inaasahan na magiging epektibo sa mga populasyon na ito.

Sa kabila ng pag-apruba ng FDA sa lonafarnib, itinuturing ito ng ilang mga bansa sa kasalukuyan na isang iniimbestigahang paggamot para sa Hutchinson-Gilford Progeria Syndrome at processing deficient na Progeroid Laminopathies. Nangangahulugan ito na sa labas ng Estados Unidos hindi ka maaaring pumunta sa isang lokal na parmasya nang may reseta at kunin ang produkto. Para sa mga karapat-dapat na pasyente ng HGPS at PDPL na naninirahan sa bansa na nagpapahintulot na ialok ang lonafarnib MAP, ito lang ang tanging paraan ng pagkakaroon ng akses sa gamot, maliban kung ikaw/ang iyong anak ay nakikilahok pa rin sa isang pag-aaral sa Boston Children's Hospital na kinabibilangan ng lonafarnib. Ang lonafarnib MAP ay mananatili sa pagpapatakbo hanggang sa mayroon nang magagamit na pangkomersiyong suplay ng lonafarnib para sa HGPS at mga PDPL sa iyong bansa. Kung magbabago iyon, aabisuhan ang mga apektadong kalahok ng MAP.

Ang kasunod na mga pahina ay may kasamang listahan ng Mga Tanong at Sagot at Appendice A at B.

## Mga Tanong at Mga Sagot

### 1. Ano ang Pinangangasiwaan na Akses sa Programa (Managed Access Program, MAP)?

- Ang isang pinangangasiwaang akses sa programa ay nagbibigay-daan sa karapat-dapat na pasyente na may kondisyong nakakabanta sa buhay na magkaroon ng akses sa isang gamot na hindi pa naaprubahan ng awtoridad sa regulatoryo ng kanilang bansa para sa pangkomersyong pagbebenta. Ang programa ay maaari lamang ialok ng tagagawa ng gamot.

### 2. Ano ang kailangan kong gawin upang mapasali sa Pinangangasiwaang Akses sa Programa para sa Lonafarnib?

- Ang lahat ng pasyente na nagnanais na lumahok sa lonafarnib MAP ay dapat magkaroon ng isang lokal na doktor na handang tumupad sa mga kinakailangan ng programa.
- Dahil ang lonafarnib ay isang iniimbestigahang produktong gamot, napakahalaga na maunawaan ng doktor ng bawat pasyente kung paano gamitin ang lonafarnib sa paggamot ng mga pasyente na may HGPS o processing deficient na Progeroid Laminopathy. Ibibigay ang mahalagang impormasyon sa gumagamot na doktor sa kanilang pagpapatala sa lonafarnib MAP.
- Ang Eiger BioPharmaceuticals ay gumagamit ng isang lubos na may karanasang kumpanya na nangangalang Clinigen upang matulungan ang iyong lokal na doktor na ilipat ka/ang iyong anak sa MAP. Susubaybayan din ng Clinigen ang programa sa patuloy na batayan.
- Ang doktor ay responsable sa pagparehistro ng kanilang sarili at ikaw/ang iyong anak sa Clinigen. Ang pagpaparehistro ay dapat kumpletuhin ng lokal na doktor. Nagagawa ito sa pamamagitan ng pakikipag-ugnay sa Clinigen. Hindi maaaring iparehistro ng mga pamilya/pasyente ang kanilang mga sarili.
- Tinitiyak ng gumagamot na doktor na nasa Clinigen ang lahat ng naaangkop na impormasyon na kinakailangan upang maipamahagi ang lonafarnib nang naaangkop.
- Matapos ang matagumpay na pagpapatala ng doktor at pagtiyak na natutupad ng pasyente ang mga pamantayan ng programa, oorderin ng gumagamot na doktor ang lonafarnib ng bata mula sa Clinigen.
- Ang lonafarnib ay ihahatid sa parmasya ng ospital/klinika ng lokal na doktor. Ang Lonafarnib ay maaaring orderin ng gumagamot na doktor 6 na linggo bago maubos ang suplay ng pasyente na lonafarnib. Kung sakaling hindi nag-order ang doktor ng lonafarnib nang kahit isang buwan bago asahang maubos ang suplay ng gamot, magpapadala ng paalala na e-mail sa doktor para abisuhan siya sa muling pag-order. Ang bawat pagpapadala ng lonafarnib ay naglalaman ng 4 na buwan na suplay. Kung magbago ito, aabisuhan ang lahat ng mga kasali sa MAP.
- Pagkatapos ay ibibigay ng doktor ang gamot sa iyo/sa iyong anak.
- Hindi lahat ng bansa ay pinapayagan na ialok ang mga MAP sa kanilang mga residente. Kabilang sa Apendise ang listahan ng mga bansa at ang kanilang katayuan sa MAP ng lonafarnib. Kung ang bansa na kinaroroonan mo/ng iyong anak ay hindi nakalista, maaaring posible pa rin ang MAP. Sa sitwasyong ito, mangyaring makipag-ugnayan sa The Progeria

Research Foundation sa 978-535-2594 o pag-email [info@progeriaresearch.org](mailto:info@progeriaresearch.org). Sa ibang paraan, ang doktor na gumagamot ay maaaring kontakin ang Pangkat ng Clinigen sa Akses sa Gamot sa +44 (0) 1932 824123 o sa pamamagitan ng pag-email sa [medicineaccess@clinigengroup.com](mailto:medicineaccess@clinigengroup.com).

### **3. Ano ang kinakailangan para sa maging karapat-dapat sa Pinangangasiwaang Akses sa Programa?**

Upang maging karapat-dapat para sa MAP, ikaw/ang iyong anak ay dapat na hindi bababa sa 12 buwan ang edad at matugunan ang lahat ng sumusunod na pamantayan:

1. Isang pagsusuri sa genetiko na nagkukumpirma sa diagnosis ng alinman sa HGPS (Progeria) o processing deficient na progeroid laminopathy.
2. Dapat tiyakin ng mga pagsusuri sa dugo na ang atay at mga bato mo/ng iyong anak ay kayang iproseso ang lonafarnib nang maayos.
3. Walang hindi makontrol na impeksyon o iba pang malubhang medikal na karamdaman na maaaring gawing hindi ligtas para sa iyo/sa iyong anak na lumahok sa MAP.
4. Negatibong pagsubok sa pagbubuntis kung ikaw/ang iyong anak ay babae at nasa edad na maaaring magbuntis.
5. Ang ilang mga gamot at ilang pagkain ay hindi maaaring kainin o gamitin habang ikaw/ang iyong anak ay gumagamit ng lonafarnib. Tatalakayin ng iyong doktor ang mga ito sa iyo. Hindi ka dapat gumamit ng lonafarnib na kasabay ng malakas o katamtamang CYP3A nga mga inhibitor o inducer. Ang Lonafarnib ay hindi dapat gamitin na kasabay ng midazolam. Hindi dapat gamitin ang Lonafarnib kasabay ng mga statin atorvastatin, lovastatin o simvastatin. Maaaring baguhin ng mga gamot na ito ang metabolismo ng lonafarnib. Makipag-usap sa iyong doktor tungkol sa mga gamot na nakakatugon sa anuman sa mga pamantayang ito.
  - a. Sabihin sa gumagamot na doktor ang tungkol sa lahat ng gamot at mga remedyong herbal na iyong iniinom. Ang ilang mga gamot at mga remedyong herbal ay maaaring maiuri bilang CYP3A na mga inhibitor o inducer. Nangangahulugan ito na maaaring baguhin ng mga ito ang metabolismo ng lonafarnib. Ang mga taong gumagamit ng lonafarnib ay dapat na huminto sa paggamit ng mga remedyong herbal, mga gamot, at mga pagkain (grapefruit juice at Seville oranges) na mga inhibitor o inducer ng CYP3A. Mangyaring tingnan ang inaprubahan ng FDA na kumpletong impormasyon sa pagreseta sa [www.zokinvy.com](http://www.zokinvy.com).

- b. Ang mga pasyente na gumagamit ng lonafarnib ay hindi dapat gumagamit ng midazolam. Kung kinakailangan ang isang pamamaraan sa pag-opera kung saan ay gagamitin ang midazolam, pansamantalang ihinto ang lonafarnib sa loob ng 10-14 na araw bago at 2 araw pagkatapos ng paggamit ng midazolam sa panahon ng pamamaraan ng operasyon. Mangyaring tingnan ang inaprubahan ng FDA na kumpletong impormasyon sa pagreseta sa [www.zokinvy.com](http://www.zokinvy.com).
- c. Ang mga pasyente na gumagamit ng lonafarnib ay hindi dapat gumagamit ng atorvastatin, lovastatin o simvastatin.

Kasama sa Apendise B ang buong pamantayan sa MAP sa pagiging karapat-dapat at hindi pagiging karapat-dapat. Ang gumagamot na doktor ay dapat na makita ang parehong mga hanay ng pamantayan.

#### **4. Gaano katagal na maaaring gamutin ang pasyente gamit ang lonafarnib bilang bahagi ng Pinangangasiwaang Akses sa Programa?**

- Layunin ng Eiger na magbigay ng akses sa lonafarnib sa pamamagitan ng Clinigen hanggang sa magamit ang gamot sa pangkalahatan o magpasya kang ihinto ang paggamot o hanggang sa aprubahan ang lonafarnib ng ahensya ng regulasyon ng iyong bansa at magagamit sa komersyo sa iyong bansa ang gamot. Kapag naaprubahan at magagamit na, makakakuha ka ng lonafarnib sa pamamagitan ng pagkuha ng reseta mula sa gumagamot na doktor sa iyo/iyong anak. Ang ilang mga hindi kilalang pangyayari ay maaaring humantong sa mga pagbabago sa MAP. Pinapanatili ng Eiger ang kakayahang baguhin ang pinangangasiwaang akses sa programa sa anumang oras. Kung binago ang programa, malalaman ng mga doktor na nagpatala ang mga pagbabago at pangangasiwaan ang komunikasyon sa pasyente o sa kanilang legal na tagapag-alaga.

#### **5. Gaano kadalas na kakailanganin kong bisitahin ang aking doktor upang kunin ang lonafarnib habang nasa programa?**

- Ikaw o ang iyong tagapag-alaga ay dapat magplano sa pagkuha ng lonafarnib mula sa gumagamot na doktor humigit-kumulang sa bawat 4 na buwan maliban kung ipinapaalam sa iyo.

#### **6. Kapag matagumpay nang naparehistro para sa MAP, paano ako makapagpapatuloy sa pagkuha ng mga refill ng lonafarnib?**

- Maghahain ang gumagamot na doktor ng order para sa lonafarnib sa pamamagitan ng isang online na sistemang iniaalok ng Clinigen. Ang Lonafarnib ay ipapadala sa itinalagang ospital sa iyong doktor at karaniwang maaaring kunin mo/ng iyong tagapag-alaga sa lugar na iyon.

- 7. Sino ang makakatulong sa impormasyon tungkol sa mga hindi kanais-nais na epekto na nauugnay sa lonafarnib o kung may mga katanungan ako habang ginagamit ang lonafarnib?**
- Pamamahalaan ng iyong gumagamot na doktor ang iyong mga hindi kanais-nais na epekto. Kung ang iyong doktor ay may anumang mga katanungan, maaari nilang kontakin ang departamento ng Medical Affairs ng Eiger sa pamamagitan ng pagpapadala ng e-mail sa [ProgeriaMA@eigerbio.com](mailto:ProgeriaMA@eigerbio.com). Hihilingin sa iyong doktor na magbigay ng kanilang impormasyon sa pagkontak sa e-mail. Magbibigay-daan ito sa Eiger na makatawag kung ang mga katanungan ay hindi masagot sa pamamagitan ng e-mail.
- 8. Sa kaganapan ng isang Malubhang Hindi Mabuting Pangyayari o Hindi Mabuting Pangyayari, sino ang dapat kontakin?**
- Ang pasyente at doktor ang mananatiling may responsibilidad na mag-ulat ng parehong Malubhang Hindi Mabuting Pangyayari at mga Hindi Mabuting Pangyayari na nauugnay sa paggamit ng lonafarnib alinsunod sa mga kinakailangan sa awtoridad sa lokal na kalusugan.
  - Ang IQVIA ang kumpanya na nagbibigay ng lahat ng mga serbisyo sa pag-uulat ng kaligtasan para sa MAP. Dahil dito, ang mga Malubhang Hindi Mabuting Pangyayari (SAE) at Hindi Mabuting Pangyayari ay dapat iulat gamit ang form ng ulat ng IQVIA SAE na makukuha sa sistema ng Cliniport. Ang mga doktor ay maaari ring tumawag sa IQVIA nang direkta gamit ang pandaigdigang numero ng telepono na nasa sistema ng Cliniport.
  - Ang Malubhang Hindi Mabuting Pangyayari at Hindi Mabuting Pangyayari ay **DAPAT LANG** na iulat sa IQVIA.
  - Ang Malubhang Hindi Mabuting Pangyayari at Hindi Mabuting Pangyayari ay **HINDI DAPAT** iulat sa Clinigen.
- 9. Sino ang makakausap ko kung mayroon akong mga karagdagang katanungan tungkol sa Pinangangasiwaang Akses sa Programa sa Lonafarnib?**
- Ang mga pasyente o tagapag-alaga ay dapat palaging magsimula sa pamamagitan ng pagtatanong sa kanilang mga doktor. Kung sakaling hindi masagot ng doktor ng mo/ng iyong anak ang tanong, maaaring makipag-ugnayan ang doktor sa Medicine Access Team ng Clinigen sa +44 (0) 1932 824123 o sa pamamagitan ng pag-email sa [medicineaccess@clinigengroup.com](mailto:medicineaccess@clinigengroup.com). Ang doktor ay maaari ring mag-email sa Eiger sa [ProgeriaMA@eigerbio.com](mailto:ProgeriaMA@eigerbio.com). Ang mga pasyente o tagapag-alaga ay dapat **hindi** makipag-ugnayan sa Clinigen. Sa halip, ang mga pasyente at tagapag-alaga ay dapat makipag-ugnayan lamang sa The Progeria Research Foundation sa 978-535-2594 o sa pamamagitan ng pagpapadala ng e-mail sa [info@progeriaresearch.org](mailto:info@progeriaresearch.org).

## Apendise A

### Katayuan ng Pinangangasiwaang Akses sa Programa ng Bansa

Kung ang iyong bansa ay wala sa alinman sa mga listahang ito, mangyaring kontakin ang The Progeria Research Foundation sa 978-535-2594 o sa pamamagitan ng pagpapadala ng e-mail sa [info@progeriaresearch.org](mailto:info@progeriaresearch.org).

<b>Mga Bansang may Magagamit na Lonafarnib MAP Marso 2021</b>	
Algeria	Kazakhstan
Argentina	Luxembourg
Australia	Malaysia
Bangladesh	Mexico
Brazil	Namibia
Belgium	Oman
Canada	Pakistan
Tsina	Pilipinas
Colombia	Poland
Denmark	Portugal
Dominican Republic	Russia
Egypt	Saudi Arabia
France*	Serbia
Alemanya	Timog Africa
India	South Korea
Indonesia	Espanya
Iraq	Sweden
Ireland	Taiwan
Israel	Thailand
Italya*	Turkey
Japan	Ukraine

\*Maaaring may hiwalay na mga programa ng gobyerno sa mga bansang ito. Kung sakaling hindi magagamit ang mga programang ito ng gobyerno, maaaring isaalang-alang ang MAP.

<b>Mga Bansa Kung Saan ang Lonafarnib MAP ay HINDI Magagamit**</b>	
Honduras	Sri Lanka
Iran	Suriname
Libya	Tajikistan
Nepal	Tanzania
Palestine-Gaza	Togo

\*\*Maaaring hindi ito isang komprehensibong listahan. Kung ikaw/ang iyong anak ay mula sa isa sa mga bansang ito at nais ng access sa lonafarnib para sa HGPS o PLs, mangyaring makipag-ugnayan sa The Progeria Research Foundation.

## Apendise B

### Pamantayan sa Pagiging Karapat-dapat at Pagiging Hindi Karapat-dapat

Ang seksyon na ito ay naglalaman ng wikang medikal at pangunahing inilaan para sa iyo upang magawang makausap ang lokal na doktor mo/ng iyong anak.

#### Mga Pamantayan sa Pagiging Karapat-dapat

Dapat matugunan ng mga pasyente ang lahat ng mga sumusunod na pamantayan sa pagiging kapat-dapat sa pagpapatala sa programa.

1. Ang pasyente ay 12 buwan ang edad o mas matanda.
2. Ang pasyente ay dapat magkaroon ng isang pagsubok sa genetiko na nagkukumpirma sa isang dayagnosis sa alinman sa Hutchinson-Gilford Progeria Syndrome o processing deficient na progeroid laminopathy (processing deficient na heterozygous LMNA na mutasyon na may akumulasyon ng parang progerin na protina o homozygous o compound heterozygous ZMPSTE24 na mga mutasyon).
3. Ang mga pasyente ay dapat may sapat na hepatic na paggana ayon sa tinukoy ng SGPT (ALT) at SGOT (AST)  $\leq 5$  beses na mas mataas sa limitasyon ng normal na saklaw para sa edad.
4. Ang nalagdaan na may kabatirang pahintulot/pagsang-ayon ng (mga) magulang o (mga) tagapag-alaga ay dapat makuha bago ang anumang mga pamamaraan ng programa.
5. Ang mga babaeng pasyente na nasa edad na maaaring manganak o sekswal na aktibo ay dapat na magkaroon ng pagsusuri sa pagbubuntis bago simulan ang lonafarnib.

#### Mga Pamantayan ng Pagiging Hindi Karapat-dapat

Ang mga pasyente na nakakatugon sa **kahit alin** sa mga sumusunod na pamantayan ay hindi kapat-dapat para sa programa:

1. Ang mga pasyente ay dapat walang hindi makontrol na impeksyon.
2. Ang mga pasyente ay dapat na walang aktibong klinikal na makabuluhang medikal na kondisyon na sa palagay ng gumagamot na doktor ay makapipigil sa kanila mula sa ligtas na pakikilahok sa programa.
3. Ang mga pasyente ay dapat walang napag-alaman o pinaghihinalaang sobrang pagkasensitibo sa alinman sa mga excipient na kasama sa pormulasyon.
4. Ang mga pasyente ay hindi dapat buntis o nagpapasuso o nagpaplanong magbuntis habang nasa terapiya.