

חוברת מידע למטופל/ת / להורה
בנושא תסמונת המוליטית
אורמית בלתי-טיפוסית
(aHUS)



תסמונת המוליטית אורמית בלתי-טיפוסית (aHUS)

הפרעה נדירה הנגרמת על-ידי הפעלה כרונית ומופרזת של מערכת המשלים, שהיא חלק ממערכת החיסון התקינה שלכם. מערכת משלים פעילה יתר על המידה, מזיקה לכלי דם קטנים וגורמת להיווצרות קרישי דם בכל רחבי הגוף. תהליך זה מכונה מיקרואנגיופתיה תרומבוטית (TMA). TMA יכול לגרום נזק לאיברים רבים בכללם המוח, הכליות והלב.

קרישי דם

הדם יכול ליצור קרישים כדי להפסיק דימום, אבל בתסמונת aHUS הדם יוצר קרישים בקלות רבה, מה שגורם לחסימת כלי דם ונזק לאיברים.

תמס דם – המוליזה

הרס בלתי תקין של תאי דם אדומים שיכול לגרום לסימנים ותסמינים של aHUS.

תמס דם (המוליזה) כרוני

הרס של תאי דם אדומים (המוליזה) על פני תקופת זמן ממושכת (כרוני).

מערכת המשלים (מכונה גם רצף המשלים או המשלים)

חלק מהמערכת החיסונית שלך שמשמיד חיידקים ותאים זרים אחרים באופן נורמלי. במקרה של aHUS, היא מופעלת באופן כרוני ומופרז, מה שגורם נזק לרקמות שלכם על-ידי הרס של כלי דם קטנים והיווצרות של קרישי דם. תהליכים אלו גורמים נזק לאיברים, בכללם המוח, הכליות הלב ואיברים אחרים.

זיבה

זיהום המועבר במגע מיני ונגרם על ידי החיידק *Neisseria gonorrhoeae* (ניסריה גונוריה) המכונה גם גונוריה. זיהום זה עלול להתפשט ולגרום לזיהום ממושט בדם (אלח דם/ ספסיס).

כשל כלייתי

מצב רפואי שבו מפסיקות הכליות לעבוד ואינן מסוגלות לסלק תוצרי פסולת או לווסת את כמות המים והחומרים החיוניים בגוף.

זיהום מנינגוקוקלי

זיהום הנגרם על ידי החיידק *Neisseria meningitidis* (ניסריה מנינגיטידיס) המכונה גם מנינגוקוקוס.

זיהום זה יכול לגרום לדלקת קרום המוח (מנינגיטיס) או לזיהום ממושט בדם (אלח דם/ ספסיס).

טסיות

טסיות הן תאי דם שיכולים להידבק זה לזה ליצירת קרישי דם. בתסמונת aHUS יוצרות טסיות הדם קרישי דם בקלות רבה ומכיוון שהן מתכלות בתהליך יצירת הקרישים, בדיקת דם עלולה לגלות שיש לכם מספר נמוך של טסיות בדם.

תאי דם אדומים (RBCs)

תאי דם הנושאים חמצן בעזרת קומפלקס חלבון המכונה המוגלובין. בתסמונת aHUS נהרסים תאי הדם האדומים תוך כדי תנועתם בכלי הדם הקטנים החסומים והפגועים.

פקת - תרומבוזיס (אירועים תרומבוטיים)

היווצרות או התפתחות של קריש דם שיכול לחסום את זרימת הדם מבעד לכלי דם. בתסמונת aHUS יכולים להופיע קרישי דם בכלי דם קטנים, שבאופן טיפוסי מצויים בתוך המוח, הכליה, הלב ואיברים אחרים.

מיקרואנגיופתיה תרומבוטית

(Thrombotic microangiopathy-TMA)

(פקת של כלי דם קטנים)

תיאור התהליך המתרחש בתסמונת aHUS - הרס כלי דם קטנים והיווצרות קרישי דם בתוך כלי דם פגועים אלו. TMA נגרמת על-ידי הפעלה כרונית ומופרזת של מערכת המשלים ומהווה את הגורם לנזק ולחולי של חולים בתסמונת aHUS.

מדריך זה מיועד למטופל/ת המבוגר/ת והמתבגר/ת הסובל/ת מתסמונת המוליטית אורמית בלתי-טיפוסית atypical Haemolytic Uremic Syndrome - aHUS) ועבור הורים לילדים ומתבגרים החולים בתסמונת aHUS. מדריך זה נותן לכם מידע אודות סוליריס, כיצד היא תינתן לכם ומידע בטיחותי חשוב שהנכם חייבים להיות מודעים לו. קיים גם מדריך נוסף המיועד במיוחד להורים לילדים צעירים, שתוכלו לקבל מהרופא/ה שלכם אם תרצו.

מהי SOLIRIS®?

SOLIRIS® היא תרופה הניתנת לחולים ב-aHUS. התרופה היא סוג של נוגדן חד-שבטי מואנש. נוגדנים הם חומרים שיכולים להיקשר בדם אל מטרת ספציפית. המונח 'מואנש' מתייחס לעובדה שהנוגדן הונס כן שיהיה דומה לנוגדנים אנושיים ככל האפשר. המונח 'חד-שבטי' פירושו שכל התרופה מגיעה מנוגדן מקורי יחיד, כלומר, הם כולם זהים בדיוק.

תסמונת aHUS היא מחלה שבה חלק ספציפי ממערכת החיסון הטבעית, המכונה מערכת המשלים, פעילה יותר, בדרך כלל עקב פגם גנטי בוויסות התקין של מערכת המשלים. מערכת המשלים מופעלת כל הזמן וכאשר היא פעילה יותר מדי היא עלולה לגרום נזק לרקמות ולאיברים של הגוף עצמו. היא עושה זאת על-ידי גרימת הרס לכלי דם קטנים והיווצרות קרישי דם אשר חוסמים את זרימת הדם אל רקמות ואיברים. לתהליך זה ניתן השם הרפואי מיקרואנגיופטיה תרומבוטית (פקקת (תרומבוזה) בכלי דם קטנים). תרומבוזה זו שמתרחשת ב-aHUS יכולה לגרום נזק לאיברים רבים בכללם הכליה, המוח והלב.

התרופה SOLIRIS® היא נוגדן שנקשר לאחד מחלקי מערכת המשלים והופך אותו ללא-פעיל. לפיכך, סוליריס מונעת/מפחיתה הרס של כלי דם קטנים והיווצרות קרישי דם ומצמצמת את התסמינים ואת הנזק לאיברים שמתרחשים בתסמונת aHUS. מאחר שתסמונת aHUS הינה מחלה כרונית, סוליריס נועדה להיות טיפול לטווח ארוך.

שאלות נפוצות

מהם שיקולי הבטיחות בקשר לתרופה SOLIRIS®?

מידע בטיחותי חשוב

מכיוון ש-SOLIRIS® חוסמת חלק מהמערכת החיסונית שלך, היא מגדילה את הסיכון ללקות בזיהום חמור ובאלח דם, במיוחד על ידי סוג של חיידק הנקרא ניסריה מנינגיטידיס (*Neisseria meningitidis*). חיידק זה עלול לגרום למקרים של זיהומים מנינגוקוקליים (זיהום חריף בקרום המוח ו/או זיהום בדם) וזיהומים אחרים הנגרמים ע"י חיידק ניסריה (*Neisseria*) ביניהם גונוריה/ זיבה מפושטת.

זיהומים אלה מחייבים טיפול דחוף ומתאים, מכיוון שהם עלולים להפוך במהירות לקטלנים או למסכני חיים, או לגרום לנכויות קשות.

חשוב להבין את אמצעי הזהירות שיש לנקוט על מנת להפחית את הסיכון ללקות בזיהומים אלה, ומה עליך לעשות אם מתעורר אצלך חשש שלקית בזיהום (ראה/י בהמשך).

את/ה או ילדך חייב/ת להתחסן נגד זיהום מנינגוקוקלי לפחות שבועיים לפני התחלת הטיפול ב SOLIRIS®. אם את/ה או ילדך התחלת/התחיל טיפול ב SOLIRIS® פחות משבועיים לאחר קבלת חיסון נגד זיהום מנינגוקוקלי, את/ה או ילדך חייב/ת לקבל טיפול אנטיביוטי למשך שבועיים מרגע מתן החיסון על מנת להפחית את הסיכון לזיהום הנגרם ע"י חיידק ניסריה מנינגיטידיס.

אם אין חיסון זמין כלשהו עבור ילדיך הצעירים או במקרה שיש לך התוויית-נגד לחיסון, את/ה או ילדך תקבלו אנטיביוטיקה במשך כל תקופת הטיפול או עד שבועיים לאחר המועד שבו ניתן לתת את החיסון.

ילדים ומתבגרים שגילם פחות מ-18 יחוסנו נגד החיידק Haemophilus influenza ונגד זיהומים פנאומוקוקים על פי הנחיות החיסון הלאומיות לפחות שבועיים לפני התחלת הטיפול בתרופה SOLIRIS® ועל פי המלצות החיסון הלאומיות עבור כל קבוצת גיל.

מהם התסמינים המזהירים שאליהם עלי לשים לב במהלך הטיפול?

החיסון מפחית את הסיכון להתפתחות זיהום, אולם הוא אינו מונע את הסיכון לחלוטין.

יהיה עליך להכיר את הסימנים והתסמינים של זיהום ולהודיע לרופא/ה שלך באופן מיידי אם מופיע אצלך אפילו אחד מהתסמינים הבאים:

- כאב ראש מלווה בבחילה או הקאה
- כאב ראש מלווה בנוקשות בצוואר או בגב
- חום
- פריחה
- בלבול
- כאב שרירים חמור בשילוב עם תסמינים דמויי-שפעת
- רגישות לאור



אם אין באפשרותך להשיג את הרופא/ה שלך, פנה/י למחלקת מיון חירום והצג/הציגי להם את כרטיס מידע בטיחותי למטופל/ת שברשותך.

לידיעת הורים/אפוטרופסים של ילודים ותינוקות, שימו לב שהתסמינים האופייניים של כאב ראש, חום ונוקשות בצוואר, עשויים להיות קשים לזיהוי, ולכן יש לשים לב לתסמינים אחרים אצל ילדים, לרבות חוסר-פעילות, אי-שקט, הקאות והזנה לקויה.



אם אין באפשרותך להשיג את הרופא/ה שלך, פנה למחלקת מיון חירום והצג/הציגי להם את כרטיס מידע בטיחותי למטופל/ת שברשותך.

האם ישנם דברים שעליי לעשות לפני התחלת הטיפול?

לפני התחלת הטיפול, הרופא/ה שלך ת/ישוחח אתך על חשיבות הדברים הבאים:

- קבלת חיסון נגד דלקת קרום המוח (מנינגיטיס) ובמקרים מסוימים, אנטיביוטיקה ספציפית על מנת להפחית את הסיכון לזיהום הנגרם ע"י חיידק ניסריה מנינגיטידיס. הבנת התסמינים הקשורים לזיהומים ומה עליך לעשות אם מופיעים אצלך / אצל ילדך התסמינים האלה.
- אם הטיפול מיועד לילדך, להבין שיש לחסן את הילד/ה נגד המופילוס אינפלואנזה ונגד זיהומים פנאומוקוקים על פי הנחיות החיסון הלאומיות לפחות שבועיים לפני התחלת הטיפול בתרופה SOLIRIS®.
- מעקב קפדני על ידי הרופא/ה שלך בעקבות כל הפסקת טיפול בתרופה.

הרופא/ה או האח/ות יודאו שתקבלי / שילדך יקבל את החיסון נגד זיהום מנינגוקוקלי לפחות שבועיים לפני מועד העירוי הראשון שלך. אם את/ה / ילדך מתחילה/ה טיפול ב SOLIRIS® פחות משבועיים לאחר קבלת חיסון נגד זיהום מנינגוקוקלי הרופא/ה או האח/ות שלך יודאו מתן אנטיביוטיקה עד שבועיים לאחר קבלת החיסון, כדי להפחית את הסיכון לזיהום על ידי ניסריה מנינגיטידיס.

בנוסף, ייעשה מעקב הדוק לגילוי זיהום מנינגוקוקלי וזיהומים אחרים במהלך תקופת הטיפול שלך.

כיצד מתחילים בטיפול ב-SOLIRIS®?

סוליריס (SOLIRIS®) היא תרופה שמחייבת מרשם רופא.

תינתן לך גם ערכת-התחלה שמכילה:

- **כרטיס מידע בטיחותי למטופל/ת:** חשוב מאוד לזהות ולטפל במהירות בסוגים מסוימים של זיהום במטופלים המקבלים סוליריס. לפיכך תקבלי "כרטיס מידע בטיחותי" אשר בו רשומים תסמינים ספציפיים שעליכם להיות ערניים לגביהם תמיד. עליכם לשאת כרטיס זה בכל עת ולהראותו לכל איש צוות רפואי שעמו הנכם נפגשים.
- **חוברת מידע למטופל/ת / להורה בנושא תסמונת aHUS.**
- **מדריך להורים בנושא תסמונת aHUS יימסר להורים/אפוטרופוסים של ילדים צעירים.**
- הרופא/ה שלך ת/יציע לך/לילדך להירשם ב**פנקס הרישום (registry)** בנושא תסמונת aHUS. הרישום שלך/של ילדך במאגר רישום זה יכול להיעשות על ידי הרופא/ה שלך.

מהו אופן המתן של התרופה SOLIRIS®?

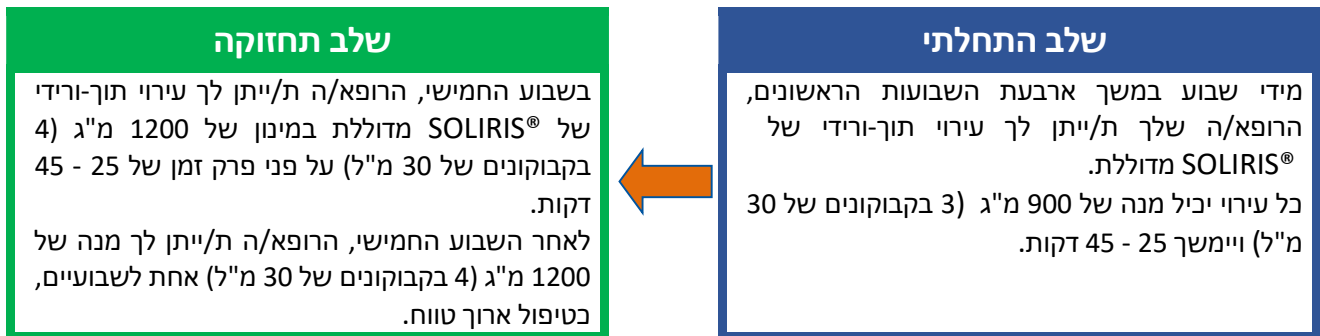
התרופה SOLIRIS® ניתנת באמצעות עירוי תוך-ורידי (החדרת תמיסה לתוך הוריד). משך העירוי הוא 25 עד 45 דקות. הכנת העירוי ומתן העירוי חייבים להיעשות על ידי רופא/ה או איש מקצוע רפואי מוסמך אחר.

בדומה לכל התרופות הניתנות באמצעות עירוי תוך-ורידי, התרופה SOLIRIS® עשויה לגרום לתגובה מיידית או מאוחרת. במקרה כזה, נא לפנות לרופא/ה שלך.

מכיוון שקיים סיכון של תגובה לעירוי (לרבות תגובה אלרגית), לאחר כל עירוי יהיה עליך להיות תחת מעקב במשך כשעה אחת. יש למלא בקפידה אחר הוראות הרופא/ה שלך.

באיזה מינון של SOLIRIS® נעשה שימוש?

עבור מבוגרים:



עבור ילדים ומתבגרים:

שלב התחזוקה	שלב התחלתי	משקל גוף
1200 מ"ג בשבוע 5, לאחר מכן 1200 מ"ג מידי שבועיים	900 מ"ג מידי שבוע 4X	40 ק"ג \geq
900 מ"ג בשבוע 3, לאחר מכן 900 מ"ג מידי שבועיים	600 מ"ג מידי שבוע 2X	30 ק"ג $>$ 40
600 מ"ג בשבוע 3, לאחר מכן 600 מ"ג מידי שבועיים	600 מ"ג מידי שבוע 2X	20 ק"ג $>$ 30
300 מ"ג בשבוע 2, לאחר מכן 300 מ"ג מידי שבועיים	600 מ"ג מידי שבוע 1X	10 ק"ג $>$ 20
300 מ"ג בשבוע 2, לאחר מכן 300 מ"ג מידי 3 שבועות	300 מ"ג מידי שבוע 1X	5 ק"ג $>$ 10

ילדים ומתבגרים עם aHUS שמשקלם 40 ק"ג ומעלה מטופלים על פי המלצות המינון הניתן למבוגרים.

ילדים ומתבגרים עם aHUS שמשקלם פחות מ-40 ק"ג זקוקים למינון נמוך יותר, על פי משקלם. חישוב המינון ייעשה על ידי הרופא/ה שלך.

חשוב מאוד לוודא שלא תחמיץ/י או תידחה אף פגישת טיפול מתוכננת על מנת להמשיך לשלוט בתמס הדם ולהפיק את מרב התועלת מהטיפול ב-SOLIRIS®.

למשך כמה זמן יהיה עליי ליטול SOLIRIS®?

מכיוון ש-aHUS היא מחלה כרונית, התרופה SOLIRIS® מיועדת לטיפול מתמשך.

על חולים שמתחילים ליטול SOLIRIS® להמשיך ליטול SOLIRIS®, גם אם מצבם משתפר. הפסקה זמנית או מוחלטת של הטיפול בסוליריס עלולה לגרום לתסמיני ה-aHUS שלך לחזור לאחר הפסקת הטיפול.

בחלק מהמטופלים שהפסיקו את הטיפול בסוליריס חזרו הסימנים והתסמינים של תסמונת aHUS. אין להפסיק טיפול בסוליריס מבלי לשוחח על כך עם הרופא/ה המטפל/ת וללא פיקוח רפואי.

אם בכוונתך להפסיק את הטיפול ב-SOLIRIS®, עליך לשוחח מראש עם הרופא/ה המטפל/ת על תופעות הלוואי והסיכונים האפשריים, הכוללים חזרה של הרס כלי דם קטנים והיווצרות קרישי דם, שעלולים לגרום ל:

- תסמינים שעשויים להופיע: הפחתה במתן שתן (בעיות בכליות), תחושת בלבול או ערנות-מופחתת.
- בעקבות תוצאות של בדיקות דם: צניחה משמעותית ברמת הטסיות, מאחר שהן מתכלות בתהליך יצירת קרישי הדם, עלייה משמעותית בהרס תאי הדם האדומים, עלייה ברמת הקריאטינין בנסיוב הדם (בעיות בכליות).
- כאבים בחזה או אנגינה, קוצר נשימה.

האם ישנם שיקולים נוספים שיש להביא בחשבון בעת נטילת SOLIRIS®?

סיכון לזיהום

בגלל מנגנון הפעולה שלה, מתן התרופה SOLIRIS® צריך להיעשות בזהירות אצל חולים עם זיהומים מערכתיים פעילים.

ייתכן גם סיכון של זיהומים אחרים הנגרמים ע"י חיידק נסריה (Neisseria), ביניהם זיהום גונוקוקי ממושט. במידה וקיים אצלך סיכון של גונוריאה (זיהום המועבר במגע מיני) אנא פנה/י לייעוץ לרופא/ה או רוקח/ת לפני נטילת תרופה זו.

תגובות אלרגיות

התרופה SOLIRIS® מכילה חלבון וחלבונים יכולים לגרום לתגובות אלרגיות אצל אנשים מסוימים. אם מופיעים אצלך סימנים או תסמינים כלשהם אחרי קבלת התרופה SOLIRIS®, עליך להתייעץ עם איש המקצוע הרפואי המטפל בך.

תרופות אחרות

חשוב להבין שעליך להימנע משינויים בתרופות מסוימות הניתלות על ידך, מבלי להתייעץ עם הרופא/ה שלך. אנא וודא/י שהרופא/ה שלך מודע/ת לכל התרופות שהנך נוטל/ת.

קשישים

אין אמצעי זהירות מיוחדים לגבי מטופלים שגילם 65 שנה ומעלה.

תופעות לוואי בלתי-רצויות

בדרך כלל ישנה סבילות טובה לתרופה SOLIRIS®. תופעות הלוואי השכיחות ביותר שעליהן דווח היו כאב ראש וספירת תאי דם לבנים נמוכה (לויקופניה), ותופעת הלוואי החמורה ביותר היא זיהום מנינגוקוקלי. רוב כאבי הראש היו מתונים וחלפו לאחר שלב המתן ההתחלתי של התרופה SOLIRIS®.

סימוכין

01. עלון לרופא כפי שאושר ע"י משרד הבריאות הישראלי.

ניתן כשירות להדרכת המטופל/ת ע"י אלקסיון פארמה ישראל

דיווח על תופעות לוואי:

ניתן לדווח על תופעות לוואי גם ישירות למערכת הדיווח הלאומית של משרד הבריאות באמצעות לחיצה על הקישור "דיווח על תופעות לוואי עקב טיפול תרופתי", הנמצא בדף הבית של אתר משרד הבריאות ([www.health.gov.il](https://sideeffects.health.gov.il)), ע"י כניסה לפורטל, או באמצעות הקישור הבא: <https://sideeffects.health.gov.il> ובאמצעות מייל ליחידה לבטיחות מטופלים של בעל הרישום: drugsafety@neopharmgroup.com טל': 1-800-250-255

למידע נוסף, יש לעיין בעלון לרופא כפי שאושר ע"י משרד הבריאות הישראלי.

96-FEB-2022


AstraZeneca Rare Disease
בית ניאופרם, רח' השילוח 6, פתח-
תקוה 4951439


SOLIRIS® is a trademark of Alexion
Pharmaceuticals, Inc. Copyright © 2018,
Alexion Pharmaceuticals, Inc. All rights
reserved.

