

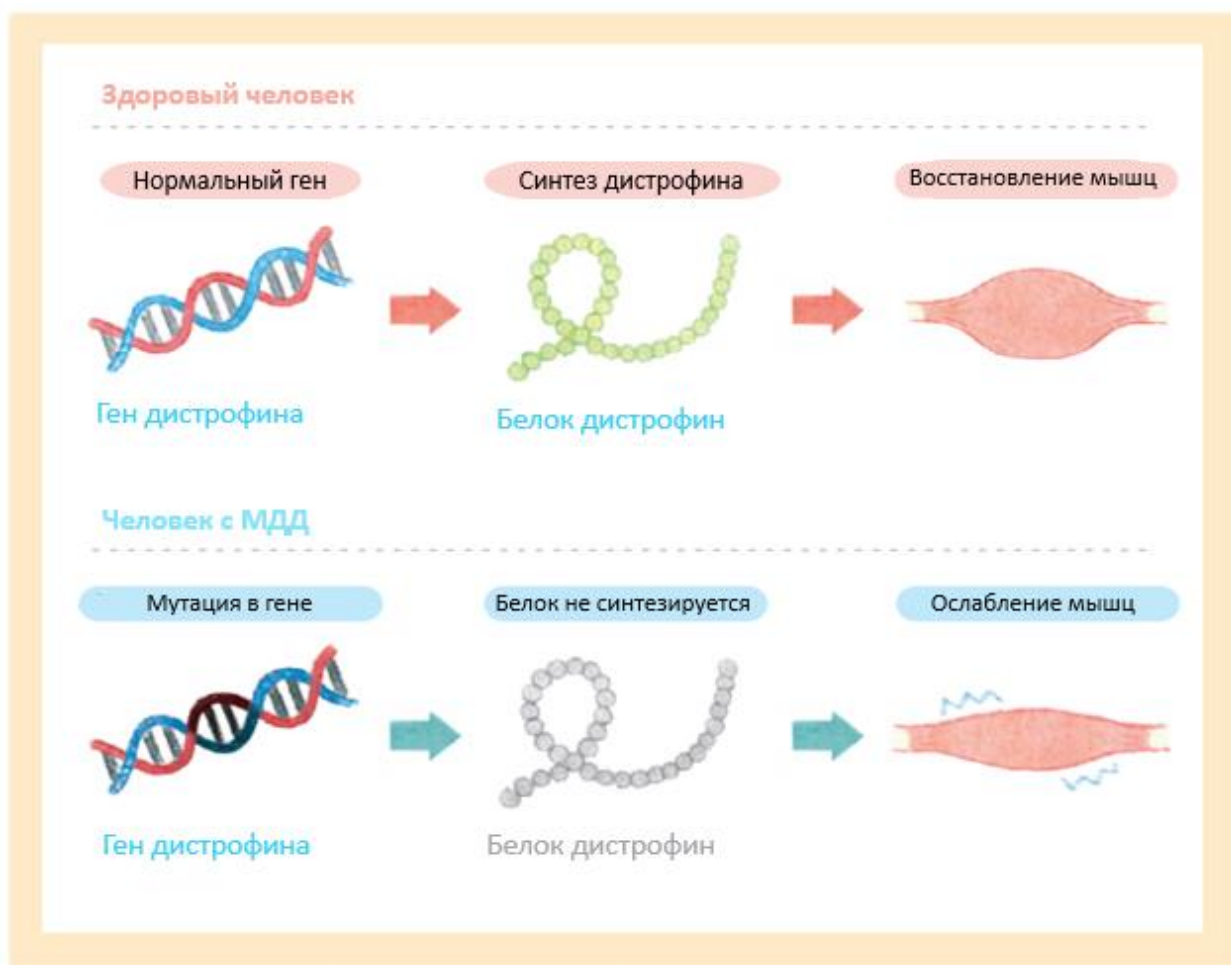
Данная версия образовательного материала для работников здравоохранения, пациентов и их семей была согласована с уполномоченными органами (Федеральная служба по надзору в сфере здравоохранения (Росздравнадзор)). Данный материал представляет Вашему вниманию информацию о том, как снизить риски, связанные с использованием препарата Вилтепсо®. Врач может объяснить пациенту или его законному представителю наиболее важную информацию по безопасности препарата, включенную в образовательный материал для пациентов. Отчеты о нежелательных явлениях должны подаваться в соответствии с локальными нормативными требованиями по фармаконадзору.

Информация для пациентов, получающих Вилтепсо®, и их семей

▼ Данный лекарственный препарат подлежит дополнительному мониторингу. Это позволит быстро выявить новую информацию по безопасности. Мы обращаемся к работникам системы здравоохранения с просьбой сообщать о любых подозреваемых нежелательных реакциях. Вы можете помочь, сообщив о возможных побочных эффектах своему лечащему врачу.

О миодистрофии Дюшенна

Мышечная дистрофия Дюшенна (МДД) вызвана генетической мутацией в гене дистрофина, которая приводит к отсутствию или дефициту белка дистрофина. Когда этот ген поврежден, нарушается процесс считывания генетической информации и клетки не имеют «инструкций» для построения белка дистрофина, что приводит к повреждению мышц. Дистрофин находится в мышечных клетках и играет важную роль в поддержании структуры этих клеток и их целостности. Отсутствие дистрофина влечет за собой нарушение целостности клеточной стенки, разрушение мышечных клеток и их замещение жировой и соединительной тканью. Этот процесс ослабляет мышцы, ухудшает их восстановление и приводит к постепенной потере мышечной силы. Миодистрофия Дюшенна проявляется прогрессирующей мышечной слабостью, утратой мышечной силы и тонуса и атрофией мышц.



Здоровый ген



Ген дистрофина

Участки гена, кодирующие белок, называются "экзонами"



Соседние экзоны правильно соединены

Ген с мутацией



Ген дистрофина

Делеция или пропуск экзона



Дупликация или удвоение



Замена



Соседние экзоны НЕ правильно соединены

Когда Вилтепсо® будет эффективен

Пациенты с диагнозом мышечная дистрофия Дюшенна с делецией гена, которую можно лечить путем пропуска 53 экзона.

Пациентов с МДД с делецией определенных экзонов можно лечить препаратом Вилтепсо®. Поскольку возможность лечения Вилтепсо® зависит от того, какие экзоны повреждены у данного пациента, перед началом лечения необходимо провести генетический тест для определения какой именно мутация привела к заболеванию. В зависимости от результатов исследования врач может определить сможет ли Вилтепсо® помочь при данном виде мутации. Только пациентам с подтвержденной мутацией гена дистрофина (DMD), которая поддается пропуску 53 экзона, может быть рекомендована терапия Вилтепсо®. Около 8% пациентов с МДД имеют мутации, которые могут быть скорректированы Вилтепсо®.

Часто встречающиеся делеции экзонов, которые возможно скорректировать Вилтепсо®

- Делеция экзона 43-52
- Делеция экзона 45-52
- Делеция экзона 47-52
- Делеция экзона 48-52
- Делеция экзона 49-52
- Делеция экзона 50-52
- Делеция экзона 52

Генетическое консультирование

Консультация врача-генетика помогает пациентам и их семьям решать сложности, связанные с медицинскими аспектами заболевания (лабораторные исследования, генетическая диагностика, иногда лечение и т.д.), включая опасения и вопросы, возникающие в результате изучения генетических (наследственных) заболеваний и их рисков. Также такая консультация будет необходима для планирования последующих беременностей в семье с целью рождения здоровых детей. Генетическое консультирование проводится профессиональным врачом-генетиком.

Пациенты, которым не следует принимать Вилтепсо®

Пациенты, симптомы которых могут ухудшаться при приеме Вилтепсо®.

- Пациентки женского пола с мутацией гена дистрофина только в одной из двух X-хромосом

Во время лечения следует соблюдать осторожность у следующих пациентов

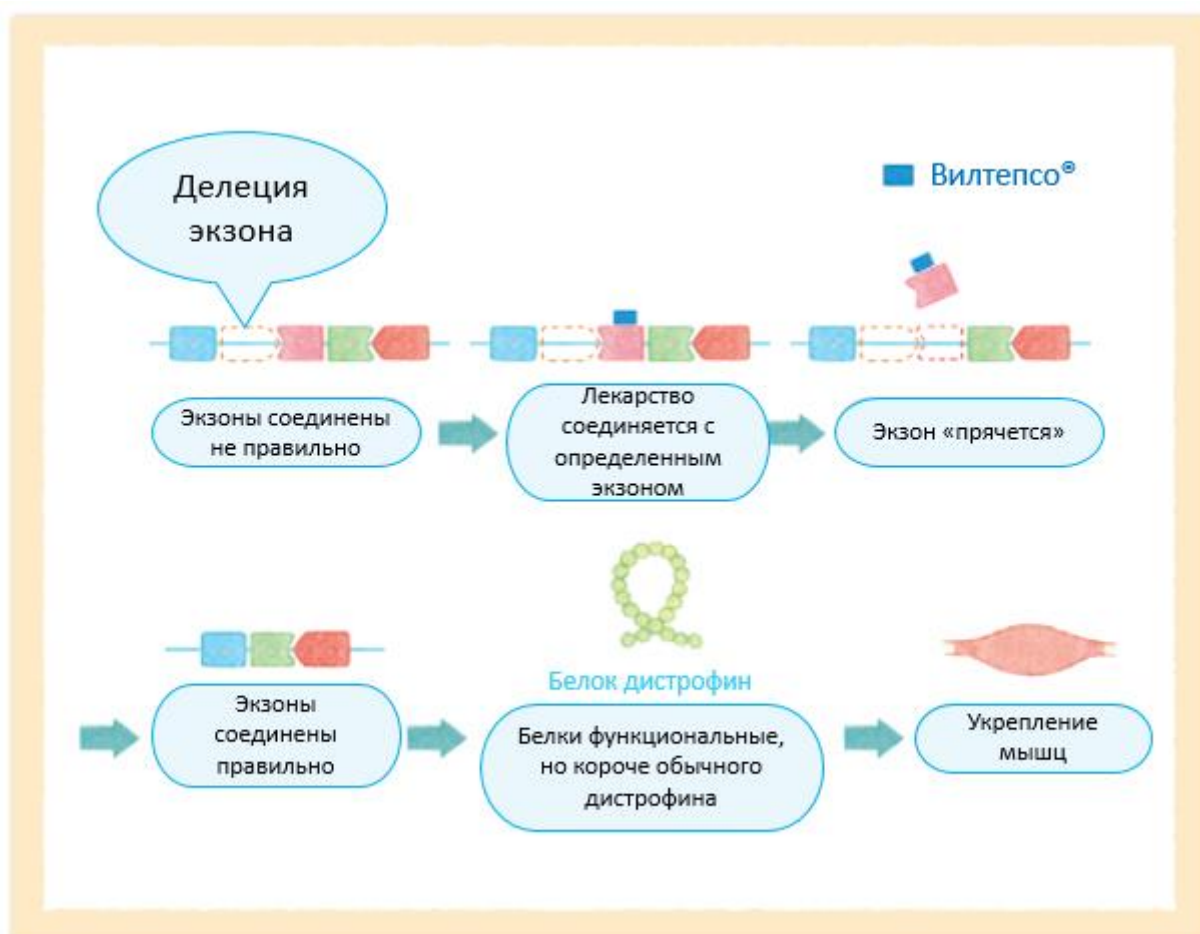
Возможность лечения препаратом Вилтепсо® должна быть обсуждена с лечащим врачом или врачом-генетиком, имеющим опыт работы с Вилтепсо®, а также с диагностикой и лечением МДД, и должна определяться врачом исходя из состояния пациента.

- Если у пациента заболевание почек, врач может назначить дополнительные анализы для оценки функции почек перед началом лечения препаратом Вилтепсо® и в ходе лечения
- Если, в связи с прогрессированием МДД, потребуется искусственная вентиляция легких, и/или эффект препарата будет отсутствовать, врач может принять решение о прекращении применения препарата Вилтепсо®

Механизм действия Вилтепсо®

Механизм действия Вилтепсо® заключается в «сокрытии» (делеции) 53 экзона в процессе формирования мРНК (мРНК – «инструкция» для построения белка дистрофина), заставляя целые экзоны, не подвергшиеся делеции правильно соединяться. Это позволяет оставшейся части гена правильно предоставлять информацию о построении белка дистрофина. В результате создаётся укороченный, но функциональный белок. Введение препарата Вилтепсо® (МНН вилтоларсен) помогает организму вырабатывать функциональный (корректно работающий) дистрофин.

Во время лечения препаратом Вилтепсо® рекомендовано периодически проверять двигательную функцию (проводить функциональные тесты), чтобы подтвердить эффективность лечения и контролировать прогрессирование заболевания.



Доза препарата Вилтепсо® и его введение

Вилтепсо® вводится 1 раз в неделю в виде внутривенной инфузии. Введение Вилтепсо® занимает около часа.

Пожалуйста, обратитесь к врачу, медсестре или другому медицинскому персоналу, если во время введения возникают какие-либо из следующих признаков или симптомов:

- Боль, покраснение, припухлость или холод в месте введения препарата
- Тошнота
- Головная боль
- Головокружение
- Лихорадка
- Дискомфорт в горле
- Учащенное сердцебиение и т. д

Во время введения Вилтепсо[®], пожалуйста, придерживайтесь следующих правил:

- Оставайтесь в покое, чтобы предотвратить прокол сосуда или изгиб внутривенного катетера и выхода препарата из кровеносного русла
- При необходимости двигайтесь осторожно, чтобы предотвратить случайное смещение внутривенного катетера/иглы или подставки для капельниц
- Перед началом инфузии сходите в уборную

Меры предосторожности во время лечения препаратом Вилтепсо[®]

Вилтепсо[®] может вызывать побочные эффекты и симптомы, описанные ниже. Их следует распознавать и начать лечить как можно раньше – если они развиваются, пожалуйста, **обратитесь к лечащему врачу.**

Побочные эффекты

- Лихорадка
- Покраснение или боль в месте инъекции



Сообщение о побочных эффектах

Если у Вас возникают какие-либо нежелательные побочные эффекты, проконсультируйтесь с Вашим врачом. К ним относятся любые побочные эффекты, в том числе не указанные в листке-вкладыше. Вы также можете сообщить о побочных эффектах напрямую:

Российская Федерация

109012, Москва, Славянская площадь, д.4, стр.1

Федеральная служба по надзору в сфере здравоохранения

Тел.: +78 (800) 550- 99- 03, +7 (499) 578-02-20

Факс: +7 (495) 698-31-18

Электронная почта: pharm@roszdravnadzor.gov.ru

<https://roszdravnadzor.gov.ru/>

О нежелательных явлениях также можно сообщить в АО «Р-Фарм»:

119421, Москва, ул. Берзарина, д.19. корпус 1

Тел.: +7 (495) 956-79-37

+7 (495) 956 79 38

e-mail: safety@rpharm.ru

Сообщая о побочных эффектах, Вы помогаете получить больше сведений о безопасности препарата.

Кроме того, если у вас возникает или беспокоит какой-либо из следующих симптомов, Вам так же следует **обратиться к Вашему лечащему врачу.**

Другие симптомы

- Повышенная чувствительность:
сыпь, экзема, крапивница и т.д.

Ранее сообщалось о гиперчувствительности к аналогичным препаратам.

- Воздействие на мочевыделительную систему:
боль в пояснице, при мочеиспускании, внизу живота,
дизурии, гематурии и т.д.

Хотя у людей это не подтверждено, рак мочеточника был обнаружен во время экспериментов на животных с применением препарата Вилтепсо®. Для выявления любых отклонений следует периодически проводить анализ мочи и ультразвуковое исследование

- Влияние на функцию почек:
уменьшение объема мочи, отеки, усталость и т.д.

Поскольку могут быть нарушены функции почек, следует периодически проводить тесты функции почек, такие как анализ мочи и крови

Регулярно консультируйтесь с лечащим врачом

Чтобы лечение было максимально эффективным, регулярно сообщайте лечащему врачу о своем самочувствии, чтобы оценить эффект от лечения и предотвратить развитие побочных эффектов. На фоне лечения Вилтепсо® следует продолжать прием всей рекомендованной ранее терапии, регулярные занятия ЛФК и реабилитации для поддержания двигательных функций.

Меры предосторожности в повседневной жизни

- Избегайте чрезмерных физических нагрузок
- Создайте безопасную среду, так как мышечная слабость может привести к падениям
- Придерживайтесь сбалансированной диеты, чтобы избежать чрезмерного увеличения или потери веса
- Поскольку лечение стероидами может ослабить иммунную систему, регулярное мытье рук, полоскание горла и ношение масок могут помочь предотвратить инфекции.

Уход на дому

Если посещение больницы становится затруднительным, Вилтепсо® можно вводить дома после консультации с лечащим врачом. Однако, в зависимости от физического состояния пациента, домашней обстановки и медицинских условий, некоторым пациентам может быть отказано в лечении в домашних условиях. В случае, если инфузия проводится на дому, она также должна осуществляться под наблюдением врача.

Обратите внимание, что даже при домашнем лечении необходимы периодические медицинские осмотры и посещения больницы.

Важно полностью прочитать листок-вкладыш с информацией для пациента, который находится в упаковке с препаратом Вилтепсо®. В нем содержатся все важные сведения, которые Вы должны знать об этом лекарстве. Попросите Вашего врача или медицинскую сестру разъяснить вам всю непонятную информацию или ответить на любые вопросы, которые у Вас могут возникнуть.