

Informatieve brochure voor de patiënt, ouders en/ of verzorgers van de patiënt.

**Eculizumab is de werkzame stof in het medicijn. Uw medicijn kan een merknaam hebben die anders is dan de werkzame stof.
Kijk dus goed over welk medicijn dit gaat**

INHOUDSOPGAVE	PAGINA
INTRODUCTIE	3
VEEL GESTELDE VRAGEN	3
<u>WELKE INFORMATIE ONTVANG IK</u>	<u>4</u>
<u>WELKE STAPPEN MOET IK VOLGEN VOOR DE BEHANDELING KAN BEGINNEN</u>	<u>4</u>
<u>WAARSCHUWING AANWEZIGHEID SORBITOL</u>	<u>4</u>
<u>WAT ZIJN DE VEILIGHEIDSOVERWEGINGEN DIE VERBAND HOUDEN MET ECULIZUMAB</u>	<u>5</u>
<u>WELKE SYMPTOMEN DIENEN MIJ TE ALARMEREN TIJDENS DE BEHANDELING</u>	<u>6</u>
<u>WANNEER MOET IK DRINGEND MEDISCHE HULP ZOEKEN?</u>	<u>8</u>
<u>ZIJN ER ERNSTIGE BIJWERKINGEN ?</u>	<u>8</u>
MELD BIJWERKINGEN	9
MEER INFORMATIE	9
VERKLARENDE WOORDENLIJST	9

INTRODUCTIE

Deze gids is bestemd voor volwassen en adolescente patiënten die lijden aan Paroxismale Nachtelijke hemoglobinerie (PNH) en voor ouders van kinderen of adolescenten met PNH. In deze gids vindt u informatie over eculizumab, hoe het aan u zal worden gegeven en belangrijke veiligheidsinformatie die u dient te weten.

Dit medicijn, met de merknaam BEKEMV, bevat naast eculizumab ook sorbitol. Als u (of uw kind) erfelijke fructose-intolerantie heeft, een zeldzame erfelijke aandoening, mag u (of uw kind) dit middel niet toegediend krijgen. Ook zuigelingen en kinderen jonger dan 2 jaar bij wie erfelijke fructose-intolerantie mogelijk nog niet is gediagnostiseerd mogen dit middel niet toegediend krijgen. Patiënten met erfelijke fructose-intolerantie kunnen fructose niet afbreken. Dat kan ernstige bijwerkingen veroorzaken. Zie waarschuwing aanwezigheid sorbitol hieronder.

WAT IS ECULIZUMAB?

Eculizumab is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van patiënten die PNH hebben. PNH is een ziekte waarbij een bepaald onderdeel van het natuurlijke immuunsysteem, het complementsysteem* genoemd, overactief werkt; die overactieve werking is meestal het gevolg van een genetisch defect in de normale werking van het complementsysteem. Het complementsysteem is altijd geactiveerd en wanneer het overactief is, kan het de rode bloedcellen afbreken (hemolyse) wat kan leiden tot een laag aantal bloedcellen, vermoeidheid, moeilijkheden bij het functioneren, pijn, donkere urine, kortademigheid en bloedklonters. Eculizumab bindt zich aan één van de onderdelen van het complementsysteem en maakt het inactief. Daarom vermindert eculizumab de hemolyse (afbraak van rode bloedcellen*) die de oorzaak is van de tekenen en symptomen van PNH*. Aangezien PNH een chronische ziekte is, is het de bedoeling dat eculizumab langdurig wordt gebruikt.

*Zie verklarende woordenlijst op pagina 9

VEEL GESTELDE VRAGEN

WELKE INFORMATIE ONTVANG IK

U ontvangt een starterspakket met daarin:

- Een Veiligheidsinformatiekaart voor de patiënt: het is voor patiënten die behandeld worden met eculizumab heel belangrijk om bepaalde infecties snel te herkennen en te behandelen; daarom ontvangt u een veiligheidsinformatiekaart waarop specifieke symptomen vermeld staan waarop u altijd dient te letten. U moet deze kaart altijd bij u hebben en ze tonen aan medisch personeel dat u raadpleegt.
 - Een informatieve brochure voor PNH-patiënten en ouders of verzorgers van PNH-patiënten.
- Als u geen van deze bovenstaande materialen heeft ontvangen, kunt u deze opvragen bij uw arts.

WELKE STAPPEN MOET IK VOLGEN VOORDAT DE BEHANDELING KAN BEGINNEN

Voordat een behandeling met eculizumab wordt gestart, zal uw arts met u het belang van het volgende bespreken:

- Gevaccineerd worden tegen een meningokokkeninfectie en in sommige gevallen een bepaald antibioticum krijgen om het risico op een infectie met een bepaalde bacterie, *Neisseria meningitidis* genoemd, tot een minimum te beperken.
- De symptomen kennen die verband houden met infecties en wat u moet doen als u of uw kind die symptomen hebt/heeft.
- Als uw kind wordt behandeld, dient u te weten dat hij/zij in overeenstemming met de nationale vaccinatierichtlijnen minstens 2 weken vóór het begin van de behandeling met eculizumab moet gevaccineerd worden tegen *Haemophilus influenzae* en pneumokokkeninfecties.
- Na stopzetting van de behandeling met eculizumab moet u of uw kind door uw arts zorgvuldig worden opgevolgd.

WAARSCHUWING AANWEZIGHEID SORBITOL

Elke ml van dit middel bevat 50 mg sorbitol.

Sorbitol is een bron van fructose. Als u (of uw kind) erfelijke fructose-intolerantie heeft, een zeldzame erfelijke aandoening, mag u (of uw kind) dit middel niet toegediend krijgen. Ook zuigelingen en kinderen jonger dan 2 jaar bij wie erfelijke fructose-intolerantie mogelijk nog niet is gediagnostiseerd mogen dit middel niet toegediend krijgen. Patiënten met erfelijke fructose-intolerantie kunnen fructose niet afbreken. Dat kan ernstige bijwerkingen veroorzaken zoals toevallen, coma, groeiachterstand, nier- en leverfalen.

Vertel uw arts voordat u dit geneesmiddel toegediend krijgt dat u (of uw kind) HFI heeft of als uw kind geen zoete voeding of dranken meer kan verdragen omdat het zich misselijk voelt, moet braken of onprettige reacties krijgt zoals een opgeblazen gevoel, maagkrampen of diarree.

WAT ZIJN DE VEILIGHEIDSOVERWEGINGEN DIE VERBAND HOUDEN MET ECULIZUMAB

Aangezien eculizumab een deel van uw immuunsysteem blokkeert, verhoogt het risico op infecties door bepaalde bacteriën zoals *Neisseria meningitidis* en andere *Neisseria*-infecties. *Neisseria meningitidis* kan een meningokokkeninfectie veroorzaken, een ernstige ontsteking van de hersenen, of een ernstige infectie van het bloed.

Meningokokkeninfecties moeten dringend op een geschikte manier behandeld worden omdat ze snel fataal of levensbedreigend kunnen worden of omdat ze tot ernstige invaliditeit kunnen leiden. Andere *Neisseria*-infecties kunnen onder andere verspreide gonorrhoe veroorzaken. Als u risico loopt op gonorrhoe, neem dan contact op met uw arts of apotheker voordat u dit geneesmiddel gebruikt.

Het is belangrijk dat u weet welke voorzorgsmaatregelen moeten genomen worden om het risico op deze infecties tot een minimum te beperken en dat u weet wat u moet doen als u zich zorgen maakt dat u misschien een infectie hebt (zie hieronder).

UIT VEILIGHEIDSOVERWEGINGEN

- Moet u/uw kind ten minste 2 weken vóór de eerste toediening van eculizumab worden gevaccineerd tegen meningokokkeninfectie. Indien de behandeling met eculizumab minder dan 2 weken na toediening van een meningokokkenvaccin wordt gestart, moet u/uw kind tot 2 weken na de vaccinatie met geschikte antibiotica profylactisch worden behandeld om het risico van infectie met *Neisseria meningitidis* te verminderen.

Uw arts of verpleegkundige zal ervoor zorgen dat u deze vaccinatie ten minste 2 weken voor uw eerste infusie krijgt. Als er geen vaccin voor u/uw jong kind beschikbaar is of als het vaccin gecontra-indiceerd is, zal u/uw kind antibiotica krijgen tijdens de hele behandelingsperiode of tot 2 weken nadat het vaccin kon gegeven worden.

Kinderen en adolescenten jonger dan 18 jaar moeten tegen *Haemophilus influenzae* en pneumokokkeninfectie gevaccineerd worden volgens de nationale vaccinatierichtlijnen. Dit minimaal 2 weken voor de start van de therapie met eculizumab en volgens de nationale vaccinatieaanbevelingen per leeftijdscategorie.

Daarnaast zal u tijdens de behandeling goed gecontroleerd worden op meningokokken- en overige infecties.

Welke symptomen dienen mij te alarmeren tijdens de behandeling

Een vaccinatie vermindert het risico op het krijgen van een infectie, maar zal het risico niet volledig kunnen uitsluiten. U dient te letten op de tekenen en symptomen van een infectie, en moet uw arts onmiddellijk raadplegen als ÉÉN van de volgende symptomen voorkomt:

- Hoofdpijn met misselijkheid of braken
- Hoofdpijn met een stijve nek of rug
- Koorts
- Huiduitslag
- Verwardheid
- Hevige spierpijn in combinatie met griepachtige symptomen
- Gevoeligheid voor licht

Als ouders/verzorgers van een kind dient u eraan te denken dat de typische symptomen van hoofdpijn, koorts en een stijve nek wellicht moeilijk waar te nemen zijn. Daarom dient u te letten op andere symptomen zoals:



Bijkomende tekenen en symptomen naast de hierboven genoemde kunnen zijn:

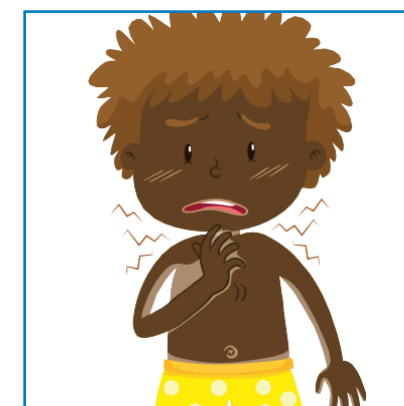
- Ademhalingsproblemen
- Koude handen en voeten
- Braken en niet willen eten
- Anders huilen dan gewoonlijk, zeuren
- Bleke, vlekkerige huid; vlekken/huiduitslag

Oudere kinderen kunnen naast de hierboven genoemde tekenen en symptomen ook andere tekenen en symptomen ontwikkelen:

- Stijve nek
- Suf, moeilijk wakker te maken
- Verwardheid en Prikkelbaarheid
- Ongecontroleerd beven en pijn in de benen



Ernstige hoofdpijn



Stijve nek



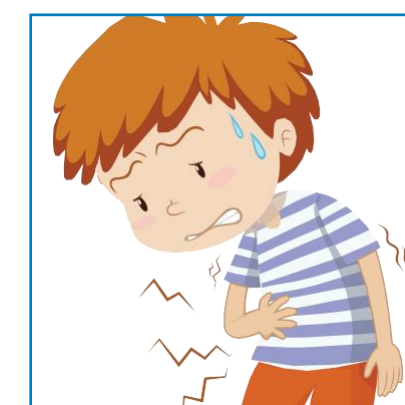
Koorts



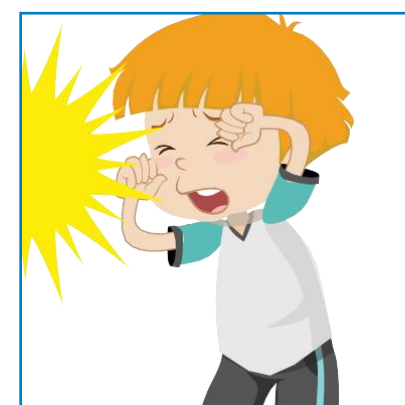
Bleke, vlekkerige huid; vlekken/huiduitslag



Verwardheid en prikkelbaarheid



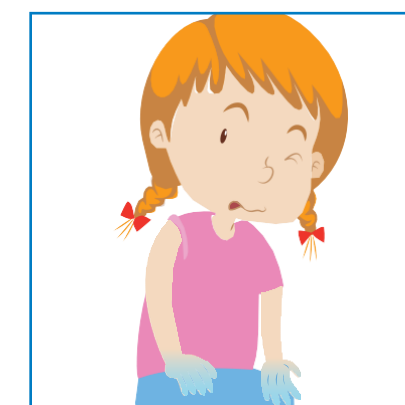
Krampen



Geen helder licht kunnen verdragen



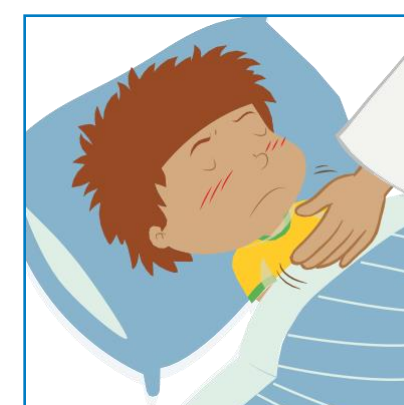
Ademhalingsproblemen



Koude handen en/of voeten



Braken



Suf, moeilijk wakker te maken



Pijn in de benen

WANNEER MOET IK DRINGEND MEDISCHE HULP ZOEKEN?

Wacht niet tot huiduitslag optreedt. Als uw kind ziek is en het verergert, roep dan onmiddellijk medische hulp in.

Bovengenoemde symptomen kunnen in willekeurige volgorde optreden. Sommige verschijnen helemaal niet. Het is heel belangrijk dat u onmiddellijk medische hulp inroept als u een van de bovenstaande symptomen ziet.

Neem direct contact op met uw arts als bij u of uw kind een van de bovenstaande symptomen optreedt.

Als u uw arts niet kunt bereiken, ga dan naar de spoedeisende hulpafdeling en toon hen uw Veiligheidsinformatiekaart voor de patiënt.

ZIJN ER ERNSTIGE BIJWERKINGEN?

Allergische en infusie-reacties

De behandeling wordt u door uw zorgverlener toegediend door Eculizumab vanuit een infuuszak via een slangetje rechtstreeks in uw ader te laten lopen.

Omdat er een risico bestaat op reacties tijdens of na de infusie (waaronder een allergische reactie), wordt na elke infusie ongeveer een uur lang gecontroleerd. Volg de instructies van de arts zorgvuldig op.

Neem direct contact op met uw arts als bij u of uw kind een van de volgende symptomen van een ernstige allergische reactie (anafylaxie) zich voordoen gedurende of direct na de infusietoediening.

- Zwelling van de keel en mond
- Moeite met ademen
- Duizeligheid
- Verwardheid
- Blauwe huid of lippen
- Instorten/verlies van bewustzijn

Als u of uw kind eculizumab voorgeschreven heeft gekregen moet u op de hoogte zijn van het volgende:

- Als de behandeling met eculizumab volledig wordt stopgezet of uitgesteld (of als behandelingen worden overgeslagen), bestaat het risico dat een van de ernstige kenmerken van uw of uw kinds aandoening zich voordoet. Hemolyse is een ernstig kenmerk van de aandoening paroxismale nachtelijke hemoglobinurie (PNH) – de rode bloedcellen die in het lichaam zuurstof vervoeren worden afgebroken. Hemolyse wordt in verband gebracht met veel van de symptomen van PNH en met een verhoogd risico op bloedstolsels in belangrijke delen van het lichaam.

Als u de behandeling met eculizumab wil stopzetten, bespreek dan van tevoren met uw arts de mogelijke bijwerkingen en risico's.

Meld bijwerkingen bij het Nederlands Bijwerkingencentrum Lareb

Dit medicijn staat onder extra toezicht. Dit zorgt ervoor dat we snel nieuwe informatie over de veiligheid van dit medicijn verkrijgen.

Neem contact op met uw arts als u last krijgt van bijwerkingen. Doe dit ook bij bijwerkingen die niet in de bijsluiter staan. U kunt bijwerkingen melden via het Nederlands Bijwerkingencentrum Lareb, website: www.lareb.nl. Door bijwerkingen te melden helpt u ons aan meer informatie over de veiligheid van dit medicijn.

MEER INFORMATIE

Deze informatie is ook terug te vinden op <https://www.amgen.nl/products/risicominalisatiematerialen/bekemv> via het scannen van



Lees de bijsluiter voor meer informatie over uw medicijn op www.geneesmiddeleninformatiebank.nl. Ga met vragen over uw medicijn naar uw arts of apotheker. Dit materiaal is goedgekeurd door het Nederlandse College ter Beoordeling van Geneesmiddelen (www.cbg-meb.nl).

VERKLARENDE WOORDENLIJST

Anafylactische reactie

Extreme en ernstige overgevoeligheidsreactie die het hele lichaam aantast, vaak beginnend met jeukende huiduitslag, zwelling van keel en/of tong, kortademigheid, braken.

Gonorrhoe

Een seksueel overdraagbare aandoening veroorzaakt door de bacterie *Neisseria gonorrhoea*. Deze infectie kan zich via de bloedbaan verspreiden.

Paroxismale nachtelijke hemoglobinurie (PNH)

Een zeldzame bloedaandoening waarbij het complementsysteem langdurig rode bloedcellen afbreekt of hemolyseert. Dit kan leiden tot ernstige problemen waaronder anemie, vermoeidheid en trombose.

Complementsysteem

Het deel van uw immuunsysteem dat bacteriën en andere vreemde cellen vernietigt. Bij PNH is het complement verantwoordelijk voor de afbraak van rode bloedcellen waarbij specifieke hiertegen beschermende eiwitten ontbreken.

Meningokokkeninfectie

Een infectie die veroorzaakt wordt door de bacterie *Neisseria meningitidis* (ook meningococcus genoemd). Dit kan leiden tot een meningokokkeninfectie of een wijdverspreide bloedinfectie (sepsis).

Bloedklonters

Als veel bloedplaatjes in het bloed samenklonteren, vormen zij een bloedklonter. Deze klonters kunnen, afhankelijk van hun grootte en de plaats waar ze zich bevinden, de bloedstroom in de bloedvaten (venen en arteriën) blokkeren.

Rode bloedcellen (RBC's)

Bloedcellen die zuurstof transporteren door gebruik te maken van een eiwitcomplex dat hemoglobine wordt genoemd. PNH rode bloedcellen worden continu aangevallen en afgebroken door het complementsysteem omdat zij belangrijke hiertegen beschermende eiwitten missen.

