

**Eculizumab 300 mg  
concentraat voor oplossing voor infusie**

Informatieve brochure voor  
**PNH-patiënten en ouders of  
verzorgers van PNH-patiënten**

**Deze materialen beschrijven aanbevelingen om belangrijke risico's van het geneesmiddel te beperken of te voorkomen en zijn beoordeeld door het College ter Beoordeling van Geneesmiddelen (CBG).**

**Deze gids is bestemd voor volwassen en adolescentie patiënten die lijden aan Paroxismale Nachtelijke Hemoglobinurie (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. Er is ook nog een andere gids beschikbaar die specifiek bedoeld is voor ouders van jonge kinderen en die uw arts u zal kunnen geven.**

## **WAT IS ECULIZUMAB?**

Eculizumab is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van patiënten die PNH hebben. Het is een type van gehumaniseerd monoklonaal antilichaam. Antilichamen zijn stoffen die zich in het bloed aan bepaalde doelen kunnen binden. Het woord 'gehumaniseerd' verwijst ernaar dat het antilichaam zodanig is ontworpen dat het zo sterk mogelijk lijkt op humane (menselijke) antilichamen. Het woord 'monoklonaal' verwijst ernaar dat het volledige geneesmiddel afkomstig is van één origineel antilichaam, wat wil zeggen dat ze allemaal exact hetzelfde zijn.

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 regulering 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 is een antilichaam dat zich aan een van de onderdelen van het complementsysteem bindt en dat het inactief maakt. 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 7

## VAAK GESTELDE VRAGEN

Wat zijn de veiligheidsoverwegingen die verband houden met eculizumab?

### BELANGRIJKE VEILIGHEIDSINFORMATIE

Aangezien eculizumab een deel van uw immuunsysteem blokkeert, verhoogt het het risico op een infectie door een bepaalde bacterie, *Neisseria meningitidis* genoemd. Dit kan hersenvliesontsteking veroorzaken, een ernstige ontsteking van de hersenen, of een ernstige infectie van het bloed.

Deze infecties moeten dringend op een geschikte manier behandeld worden omdat ze snel fataal of levensbedreigend kunnen worden of omdat ze tot ernstige invaliditeit kunnen leiden.

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.

\* Zie verklarende woordenlijst op pagina 7

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



Als ouders/verzorgers van pasgeborenen en zuigelingen 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 bij baby's te letten op andere symptomen, zoals niet actief zijn, prikkelbaarheid, braken en niet willen eten.

## Welke stappen moet ik volgen voordat ik met 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 hersenvliesontsteking 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 die symptomen hebt.
- 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 door uw arts zorgvuldig worden opgevolgd.

**Uw arts of verpleegkundige zal ervoor zorgen dat u/uw kind ten minste 2 weken vóór de eerste toediening van eculizumab wordt gevaccineerd tegen meningokokkeninfectie\*. Indien de behandeling met eculizumab minder dan 2 weken na toediening van een meningokokkenvaccin wordt gestart, zal uw arts of verpleegkundige ervoor zorgen dat u/uw kind tot 2 weken na de vaccinatie met geschikte antibiotica profylactisch wordt behandeld om het risico van infectie met *Neisseria meningitidis* te verminderen.**

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

## Hoe begin ik mijn behandeling met eculizumab?

Eculizumab moet worden voorgeschreven door een arts. U ontvangt bovendien 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**.
- Een **Informatieve brochure voor ouders van jonge kinderen met PNH** wordt gegeven aan de ouders/wettelijke voogden van jonge kinderen.
- Uw arts zal u/uw kind voorstellen om deel te nemen in het **PNH-register**. Uw arts kan u/uw kind in dit register opnemen.

## Hoe wordt eculizumab toegediend?

Eculizumab wordt toegediend als **intraveneus infuus** (het inlopen van een vloeistof in een ader). Het infuus duurt **25 tot 45 minuten**. Het moet worden klaargemaakt en toegediend door een arts of ander geschikt en bevoegd medisch personeel.

Zoals elk ander geneesmiddel dat met een intraveneus infuus wordt toegediend, kan eculizumab onmiddellijk of later bijwerkingen veroorzaken. Raadpleeg uw arts als dat het geval is.

**Omdat de kans bestaat dat u een reactie vertoont op het infuus (waaronder een allergische reactie), wordt u na elk infuus gedurende ongeveer één uur gecontroleerd. De instructies van uw arts moeten zorgvuldig worden opgevolgd.**

## Hoe lang zal ik eculizumab moeten gebruiken?

Aangezien **PNH\*** een chronische ziekte is, is eculizumab bedoeld als een **langetermijnbehandeling**.

Patiënten die met eculizumab begonnen zijn, moeten hiermee doorgaan ook als ze zich beter voelen. De behandeling met eculizumab onderbreken of beëindigen, kan ertoe leiden dat de symptomen van PNH\* kort daarop in ernstiger mate terugkeren.

**Als u de behandeling met eculizumab wil stopzetten, bespreek dan van tevoren met uw arts de mogelijke bijwerkingen en risico's, waaronder een verhoogde afbraak van uw rode bloedcellen\*, wat kan leiden tot:**

- Een sterke daling van het aantal rode bloedcellen\* (anemie\*)
- Verwarring of verminderde alertheid
- Pijn op de borst of angina
- Problemen met uw nieren (een stijging van de hoeveelheid creatinine in uw serum)
- Bloedklonters (trombose\*)

Het is heel belangrijk dat u ervoor zorgt dat u **geen afspraken voor behandeling mist of uitstelt** om zo de hemolyse te kunnen controleren en optimaal baat te hebben bij de behandeling met eculizumab.

**U mag de behandeling niet stoppen zonder medisch toezicht.**

## Zijn er nog andere zaken waaraan ik moet denken tijdens de behandeling met eculizumab?

### **Allergische reacties**

Eculizumab bevat een eiwit; eiwitten kunnen bij sommige mensen allergische reacties veroorzaken. Als u tekenen of symptomen hebt nadat u eculizumab hebt gekregen, moet u uw arts raadplegen.

\* Zie verklarende woordenlijst op pagina 7

## VERKLARENDE WOORDENLIJST

### **Anemie**

Een aandoening waarbij uw lichaam onvoldoende rode bloedcellen heeft; dit kan leiden tot vermoeidheid en andere symptomen.

### **Bloedklonters**

Als veel bloedplaatjes in het bloed samenklonten, 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 (zie ook '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.

### **Hemoglobine**

De roodbruine stof in rode bloedcellen die het zuurstof door het lichaam transporteert. Verantwoordelijk voor de karakteristieke donkere urine die soms voorkomt bij PNH.

### **Hemoglobinurie**

Hemoglobine in de urine. Dit is een technische naam voor de donkere "cola-kleurige" urine die soms voorkomt bij PNH. Als de rode bloedcellen worden afgebroken of vernietigd, zoals gebeurt bij PNH, komt hemoglobine vrij uit de rode bloedcellen. Als het niet volledig verwerkt wordt door het lichaam, wordt het

uitgescheiden als afval en kleurt het de urine met een karakteristieke cola-bruine kleur.

### **Meningokokkeninfectie**

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

### **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.

### **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.

### **Trombose**

De vorming of de ontwikkeling van een bloedklonter waardoor vaak de bloedstroom door een bloedvat wordt geblokkeerd. Bij PNH worden soms bloedklonters gevormd op gewone plaatsen maar ook op ongewone plaatsen, zoals in bloedvaten in de buik (zie bloedklonters).

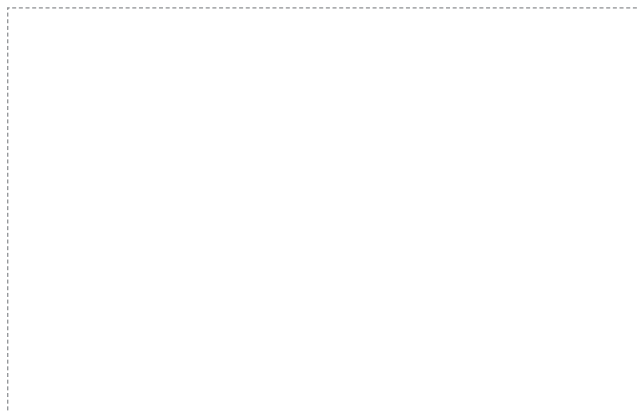








**U moet deze veiligheidsinformatiekaart steeds bij u hebben.**



### **U kunt extra materiaal opvragen via**

uw behandelend arts of via [customeroperationsbenelux@alexion.com](mailto:customeroperationsbenelux@alexion.com).

Aanvullende informatie betreffende eculizumab is beschikbaar in de bijsluiter op [www.cbg-meb.nl](http://www.cbg-meb.nl) of zie de bijgevoegde bijsluiter.

### **Het melden van bijwerkingen**

▼ Dit geneesmiddel is onderworpen aan aanvullende monitoring. Daardoor kan snel nieuwe veiligheidsinformatie worden vastgesteld.

U kunt hieraan bijdragen door elke bijwerking die u ondervindt te melden. In Nederland kunt u vermoede bijwerkingen melden bij Nationaal Bijwerkingen Centrum Lareb. U kunt daarvoor gebruik maken van het meldingsformulier dat u op internet kunt vinden ([www.lareb.nl](http://www.lareb.nl)). Bijwerkingen kunnen altijd gemeld worden bij de houder van de handelsvergunning van het product (via email naar [MedInfo.EMEA@alexion.com](mailto:MedInfo.EMEA@alexion.com) of bel naar +32 (0)2 548 3667).