

# **Brochura informativa**

# **Hemoglobínúria**

# **Paroxística Noturna**

# **(HPN)**

**Doente/ Pais / Cuidadores de Doentes**

**Informação de Segurança Importante**

## INTRODUÇÃO

Este guia é para doentes adolescentes e adultos que sofrem de Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) e para pais ou cuidadores de crianças e adolescentes com HPN. O guia fornece-lhe informação sobre o SOLIRIS®, como este será administrado e informação de segurança importante para a qual deve estar alerta. Contém também informação específica para pais de crianças pequenas.

## O QUE É SOLIRIS®?

SOLIRIS® é um medicamento que é utilizado para tratar doentes com HPN. É um tipo de anticorpo monoclonal humanizado. Os anticorpos são substâncias que, no sangue, se podem ligar a alvos específicos. Humanizado descreve o facto de o anticorpo ter sido concebido de forma a assemelhar-se o mais possível aos anticorpos humanos. Monoclonal significa que todo o medicamento provém de um anticorpo original, isto é, são todos exatamente iguais.

A HPN é uma doença na qual uma parte específica do sistema imunitário natural, chamado o sistema complemento, se encontra hiperativo, geralmente devido a um defeito genético na regulação normal do sistema complemento. O sistema complemento está sempre ativo, mas quando se encontra hiperativo pode destruir os seus glóbulos vermelhos (hemólise), o que pode levar a baixas contagens sanguíneas, cansaço, dificuldade de funcionamento, dor, urina escura, falta de ar e coágulos sanguíneos.

SOLIRIS® é um anticorpo que se liga a uma das partes do sistema complemento, tornando-o inativo. Assim, este medicamento reduz a hemólise (destruição dos glóbulos vermelhos), que é a causa dos sinais e sintomas da HPN. Como a HPN é uma doença crónica, SOLIRIS® destina-se a ser utilizado como tratamento de longa duração.

## QUESTÕES FREQUENTES

### QUAIS SÃO AS CONSIDERAÇÕES DE SEGURANÇA RELACIONADAS COM SOLIRIS®?

#### INFORMAÇÃO DE SEGURANÇA IMPORTANTE

Como este medicamento bloqueia uma parte do seu sistema imunitário, aumenta o risco de infeção grave e sépsis, especialmente por um tipo de bactéria chamada *Neisseria meningitidis*. Isto pode causar casos de meningite, que é uma inflamação *major* do cérebro, ou uma infeção grave do sangue.

**Estas infeções requerem cuidados urgentes e apropriados, uma vez que rapidamente se podem tornar fatais, colocar a vida em risco ou levar a incapacidades major.**

É importante compreender as precauções a tomar para reduzir o risco destas infeções e o que deve fazer no caso de estar preocupado por poder estar com uma infeção (ver abaixo).

Como precaução de segurança:

**VOCÊ, OU O DOENTE, DEVE SER VACINADO** contra a infeção meningocócica antes de iniciar o tratamento com SOLIRIS® e, em alguns casos, ser tratado com um antibiótico para reduzir o risco de infeção por *Neisseria meningitidis* até a vacinação ter tido tempo de produzir efeito.

O seu médico ou enfermeiro certificar-se-ão que você ou o doente recebe esta vacina, pelo menos 2 semanas antes da primeira perfusão.

Caso não exista vacina disponível para a sua criança pequena, ou caso a vacina seja contraindicada a si enquanto doente, ser-lhe-á dado um antibiótico durante o período de tratamento ou até 2 semanas após a vacina lhe poder ser dada.

**Crianças e adolescentes com menos de 18 anos de idade serão vacinados contra *Haemophilus influenzae* e infeções pneumocócicas de acordo com as diretrizes nacionais de vacinação, pelo menos 2 semanas antes do início do tratamento com SOLIRIS® e seguindo as recomendações nacionais de vacinação para cada grupo etário.**

## **QUAIS SÃO OS SINTOMAS PARA OS QUAIS DEVO ESTAR ALERTA DURANTE O TRATAMENTO?**

A vacinação reduz o risco de desenvolver uma infeção, mas não elimina totalmente esse risco.

**Deve estar alerta para os sinais e sintomas de infeção e notificar imediatamente o seu médico se ALGUM dos seguintes sintomas ocorrer:**

- Dores de cabeça com náuseas ou vômitos
- Dores de cabeça com rigidez no pescoço ou nas costas
- Febre
- Irritação cutânea
- Confusão
- Dores musculares fortes associadas a sintomas do tipo gripal
- Sensibilidade à luz



**Se não conseguir consultar o seu médico, dirija-se ao serviço de urgência de um hospital e mostre o seu Cartão de Segurança do Doente.**



Para os pais/representantes legais dos recém-nascidos e bebés\*, estejam **alerta para o facto de os sintomas típicos de dor de cabeça, febre e rigidez no pescoço poderem ser difíceis de detetar**, pelo que devem estar atentos a outros sintomas nos bebés que incluem inatividade, irritabilidade, vômitos e falta de apetite. Consultar as últimas páginas deste guia.

*\* De acordo com o folheto informativo, este medicamento pode ser utilizado por bebés com mais de 5Kg.*

**Se não conseguir consultar o seu médico:**

**Dirija-se ao serviço de urgência de um hospital e mostre o seu Cartão de Segurança do Doente.**

## EXISTEM PASSOS QUE TEREI DE SEGUIR ANTES DE INICIAR O TRATAMENTO?

Antes de iniciar o tratamento, o seu médico irá discutir consigo a importância de:

- Ser vacinado contra a meningite e, em alguns casos, um antibiótico específico para reduzir o risco de infeção por *Neisseria meningitidis*.
- Compreender os sintomas associados às infeções e o que fazer se tiver esses sintomas.
- Ser cuidadosamente monitorizado pelo seu médico após qualquer interrupção do tratamento com este medicamento.

**O seu médico ou enfermeiro certificar-se-ão de que é vacinado contra a infeção meningocócica pelo menos 2 semanas antes da sua primeira perfusão e, em alguns casos, um antibiótico específico para reduzir o risco de infeção por *Neisseria meningitidis*.**

Adicionalmente, será monitorizado de perto para a deteção de infeções meningocócicas e outras infeções durante o seu tratamento.

## QUE INFORMAÇÃO DEVO RECEBER AO REALIZAR O TRATAMENTO COM SOLIRIS®?

Ser-lhe-á dado um “kit de iniciação” contendo:

- **Cartão de segurança do doente:** é muito importante para identificar rapidamente e tratar determinados tipos de infeção em doentes tratados com este medicamento; neste sentido, ser-lhe-á dado um Cartão de Segurança que lista os sintomas específicos para os quais deve estar sempre alerta. Deve trazer sempre este cartão consigo e mostrá-lo a qualquer profissional de saúde com quem contactar.
- **Brochura informativa Hemoglobínúria Paroxística Noturna (HPN) do Doente/Pais/Cuidadores de Doentes**
- O seu médico dar-lhe-á a possibilidade de participar no **Registo de HPN**. É o seu médico que o pode incluir neste registo.

## O QUE DEVO TER EM CONSIDERAÇÃO ENQUANTO ESTIVER A FAZER O TRATAMENTO COM SOLIRIS®?

### Risco de infeção

Devido ao seu mecanismo de ação, SOLIRIS® deve ser administrado com precaução em doentes com infeções sistémicas ativas.

### Reações alérgicas

SOLIRIS® contém uma proteína e as proteínas podem causar reações alérgicas em algumas pessoas. Se sentir quaisquer sinais ou sintomas após ter-lhe sido administrado SOLIRIS®, deve consultar o seu profissional de saúde.

### Outra medicação

É importante compreender que alguns medicamentos que está a tomar, especialmente anticoagulantes (fluidificantes do sangue), tais como aspirina ou varfarina, não devem ser alterados sem consultar o seu médico. Certifique-se que o seu médico tem conhecimento de toda a medicação que está a tomar.

### **Compromisso renal (rins) e hepático (fígado)**

Se sofre de insuficiência renal ou hepática, informe o seu médico e consulte-o antes do tratamento.

### **Gravidez**

Este medicamento não é recomendado durante a gravidez. Informe o seu médico antes de iniciar o tratamento com SOLIRIS® se estiver grávida ou se planejar engravidar.

Mulheres em idade fértil deverão utilizar um método contraceptivo eficaz durante e até 5 meses após o tratamento.

### **Amamentação**

SOLIRIS® pode passar através do leite materno para o seu bebé. Por esse motivo, não deve amamentar durante o tratamento com este medicamento e até 5 meses após o tratamento.

### **Idosos**

Não existem precauções especiais no tratamento de doentes com 65 ou mais anos de idade.

### **Efeitos secundários**

SOLIRIS® é geralmente, bem tolerado. Os efeitos secundários mais frequentemente notificados foram dores de cabeça e contagem baixa dos glóbulos brancos (leucopenia) e o efeito secundário mais grave é a infeção meningocócica. A maioria das dores de cabeça foi ligeira e não persistiu após a fase de administração inicial de SOLIRIS®.

**Se planeia parar o tratamento com SOLIRIS®, precisará de falar previamente com o seu médico sobre os possíveis efeitos secundários e riscos, que incluem um aumento da destruição dos seus glóbulos vermelhos (hemólise), o que pode provocar:**

- Uma diminuição significativa na sua contagem de glóbulos vermelhos (anemia).
- Que fique confuso ou menos alerta.
- Dor no peito ou angina.
- Problemas nos seus rins (aumento nos seus níveis séricos de creatinina).
- Coagulação sanguínea (trombose).

**Não deve interromper o seu tratamento sem supervisão médica.**

## **BEBÉS\***

### **Sinais e Sintomas de Meningite e/ ou Sépsis – Infecções que colocam a vida em risco**

\*De acordo com o folheto informativo, este medicamento pode ser utilizado por bebés com mais de 5Kg.

O(a) seu(sua) filho(a) está a utilizar SOLIRIS<sup>®</sup>, o que reduz as defesas naturais contra a meningite e a sépsis. A meningite e a sépsis são infeções **EXTREMAMENTE PERIGOSAS** e podem rapidamente tornar-se **FATAIS**. Em bebés, os sinais e sintomas podem ser diferentes dos observados em crianças pequenas. Esses sinais e sintomas incluem:

- Febre,
- Mãos e/ou pés frios,
- Respiração rápida,
- Pele pálida, manchada; manchas/ erupção cutânea,
- Recusa de comida e/ ou vômitos,
- O bebé não gosta de ser pegado ao colo,
- O bebé apresenta-se sonolento, mole, sem resposta,
- Choro diferente do habitual, gemidos,
- Tensão ou abaulamento da zona normalmente mole da cabeça.

Para sinais e sintomas em crianças pequenas, consulte a página seguinte.

**Nem todos os bebés têm todos estes sinais e sintomas de meningite e sépsis.**

**É muito importante que procure cuidados médicos **IMEDIATAMENTE** se detetar **QUAISQUER** destes sinais e sintomas.**

## **CRIANÇAS PEQUENAS**

### **Sinais e Sintomas de Meningite e/ ou Sépsis – Infecções que colocam a vida em risco**

**A meningite e a sépsis são infeções **EXTREMAMENTE PERIGOSAS** e podem rapidamente tornar-se **FATAIS**.**

Em crianças pequenas, os sinais e sintomas a que deve estar alerta são:

- Febre,
- Mãos e/ ou pés frios,
- Vômitos,

- Pescoço rígido,
- A criança não gosta de luzes brilhantes,
- Pele pálida, manchas/ erupção cutânea,
- Criança sonolenta, difícil de acordar,
- Confusão e irritabilidade,
- Dor de cabeça forte,
- Tremor descontrolado,
- Dificuldade em respirar,
- Dor na perna.

**Nem todas as crianças têm todos estes sinais e sintomas de meningite e sépsis.**

**É muito importante que procure cuidados médicos **IMEDIATAMENTE** se detetar **QUAISQUER** destes sinais e sintomas.**

## Cartões de Informação de Segurança do Doente

Os Cartões de Informação de Segurança do Doente no final desta brochura contêm informação de segurança importante que você ou qualquer responsável pelos cuidados do(a) seu (sua) filho(a) devem saber durante todo tratamento da criança com Soliris e posteriormente. Uma vez que este medicamento pode reduzir a resistência natural do(a) seu (sua) filho(a) a infeções, é importante reconhecer os sinais e sintomas de infeções, incluindo os de meningite e sépsis. Estes cartões incluem uma lista de sinais e sintomas destas infeções, para que qualquer pessoa que supervisione o(a) seu/sua filho(a) possa reconhecer uma infeção de meningite e sépsis, e procurar ajuda médica **IMEDIATA**.

Preencha os cartões e dê um a todos os responsáveis pelos cuidados do(a) seu/sua filho(a) (por exemplo, um professor, babysitter/ama, pessoal do infantário). Assegure-se também de que leva sempre um conjunto consigo. Cópias adicionais desta brochura e do cartão de segurança estão disponíveis gratuitamente ao ligar (+351) 924154522.

**Informe a pessoa que toma conta do(a) seu/sua filho(a) que estes cartões devem ser mostrados a todos os profissionais de saúde envolvidos no tratamento da criança, caso esta necessite de cuidados médicos.**

## Informação de Segurança Muito Importante

Uma vez que Soliris bloqueia uma parte do sistema imunitário do organismo, a resistência natural do(a) seu (sua) filho(a) a infeções pode estar reduzida, especialmente contra certos organismos que causam infeções meningocócicas, incluindo meningite e septicémia, também conhecida como “envenenamento do sangue” ou sépsis.

As infeções meningocócicas são **EXTREMAMENTE PERIGOSAS** e podem ser **FATAIS** em menos de 4 horas.<sup>1</sup> Forneça uma cópia deste panfleto a todos os cuidadores do(a) seu (sua) filho(a) de modo a ajudá-los a identificar os sinais e sintomas de meningite e sépsis. Eles devem procurar cuidados médicos **IMEDIATAMENTE** caso surjam quaisquer sinais ou sintomas.

**Para pais/ representantes legais de recém-nascidos e bebés: esteja alerta para o facto dos sinais e sintomas típicos de dor de cabeça com náuseas ou vômitos dor de cabeça com rigidez no pescoço, febre > 39°C, irritação cutânea, confusão, dores musculares fortes associadas a sintomas do tipo gripal, sensibilidade à luz; outros sinais e sintomas em bebés para os quais deve estar alerta incluem inatividade, vômitos e falta de interesse na comida.**



## Quais são os sinais e sintomas para os quais devo estar alerta durante o tratamento com Soliris?

A vacinação reduz o risco de desenvolvimento de uma infecção mas não elimina totalmente esse risco.

Vai necessitar de estar alerta para sinais e sintomas de infecção grave e consultar o seu profissional de saúde **IMEDIATAMENTE** se o(a) seu/sua filho(a) tiver **QUAISQUER** dos seguintes sintomas:

- **Febre**
- **Mãos e/ou pés frios**
- **Recusa de comida e/ou vômitos**
- **Não gostar de ser pegado ao colo**
- **Sonolento, mole, sem resposta**
- **Respiração rápida**
- **Pele pálida, manchada; manchas/erupção cutânea**
- **Choro diferente do habitual, gemidos**
- **Tensão ou abaulamento da zona normalmente mole da cabeça**

# CARTÃO DE INFORMAÇÃO DE SEGURANÇA DO DOENTE

Coloque a  
foto do(a)  
seu(sua)  
filho(a) aqui

## Informação de segurança importante para quem supervisiona

Esta criança está atualmente a ser tratada com SOLIRIS<sup>®</sup> e pode ter a sua resistência natural a infeções reduzida, especialmente infeções meningocócicas, que incluem meningite e “envenenamento do sangue” (também conhecida como sépsis). **Se notar que a criança tem qualquer um dos sinais e sintomas listados neste cartão, os quais podem indicar uma infeção grave, contacte o médico da criança imediatamente.**

A meningite pode matar em menos de 4 horas<sup>1</sup>. Não espere pelo aparecimento de uma erupção cutânea, pois esta pode não aparecer<sup>2</sup>. Se surgir QUALQUER sinal ou sintoma, procure cuidados médicos imediatamente.

Se não conseguir contactar o médico da criança, leve imediatamente a criança ao serviço de urgência e mostre este cartão aos profissionais de saúde aí presentes.

Nome do doente \_\_\_\_\_

Informação de contacto dos Pais/ Responsável legal \_\_\_\_\_

Nome do médico \_\_\_\_\_

Informação de contacto do médico \_\_\_\_\_

## INFORMAÇÃO DE SEGURANÇA IMPORTANTE PARA PROFISSIONAIS DE SAÚDE

Foi prescrita terapêutica com Soliris a este doente. Soliris é um anticorpo que inibe a ativação do complemento terminal. Devido ao seu mecanismo de ação, a utilização deste medicamento aumenta a suscetibilidade do doente a infeção meningocócica (*Neisseria meningitidis*). Antes de iniciar o tratamento, este doente deve receber uma vacina meningocócica ou antibióticos, mas poderá ainda ser suscetível a infeções meningocócicas ou outras infeções gerais. Deverá monitorizar cuidadosamente a ocorrência de sinais precoces de infeção meningocócica, avaliar de imediato se existe suspeita de infeção, e tratar com antibióticos, se necessário. Alguns doentes tiveram reações à perfusão após a administração de Soliris. As perturbações gerais ou alterações no local da administração frequentes incluem desconforto no peito, arrepios fadiga, astenia, reação associada à perfusão, edema, e pirexia. Para mais informação sobre este medicamento, consulte o Resumo das Características do Medicamento. Em caso de questões de segurança, contacte a

**Eurotrials Consultores Científicos SA (Rua Tierno Galvan, Torre 3, 16º, 1070-274 Lisboa), através do telefone:  
+351 924154522**

Sintomas de Meningite e Sépsis: BEBÉS	Sintomas de Meningite e Sépsis: CRIANÇAS PEQUENAS	
Febre	Febre	Tremor descontrolado
Mãos e/ ou pés frios	Mãos e/ ou pés frios	Dificuldade em respirar
Recusa de comida e/ou vômitos	Vómitos	Dor na perna
Não gosta de ser pegado ao colo	Sonolento, difícil de acordar	
Sonolento, mole, sem resposta	Confusão e irritabilidade	
Respiração rápida	Dor de cabeça forte	
Pele pálida/ manchada; manchas Erupção cutânea	Pescoço rígido	
Choro diferente do habitual, gemidos	Não gosta de luzes brilhantes	
Tensão ou abaulamento da zona normalmente mole da cabeça	Pele pálida, manchada; manchas/ erupção cutânea	
<p><b>Por favor consulte o Folheto Informativo do SOLIRIS® em anexo, que inclui informação relativa a infeções meningocócica</b></p>		

Para pais/ representantes legais:

**SE A CRIANÇA APRESENTAR QUAISQUER SINAIS OU SINTOMAS DE MENINGITE OU SÉPSIS, CONTACTE O SEU PROFISSIONAL DE SAÚDE IMEDIATAMENTE.**

**Se não conseguir contactar o seu profissional de saúde, procure cuidados de emergência IMEDIATOS no Serviço de Urgência e mostre o seu Cartão de Informação de Segurança do Doente aos profissionais de saúde aí presentes.**

**Caso existam dúvidas sobre segurança, contacte o seguinte ponto de contacto local:**

Eurotrials Consultores Científicos SA  
Rua Tierno Galvan, Torre 3, 16º  
1070-274 Lisboa  
Tel: +351 924154522

*Versão 4 [Novembro 2015]*



Alexion Pharma Spain  
Passeig de Gràcia,  
85, 4a Planta  
Barcelona 08008  
Espanha



SOLIRIS® é uma marca registada da Alexion  
Pharmaceuticals, Inc. Copyright © 2012, Alexion  
Pharmaceuticals, Inc. Todos os direitos  
reservados.