

# Morquio A için Vimizim tedavisi

## Yönetimli Erişim Sözleşmesi (YES)

Hastalar ve ebeveynler için kılavuz

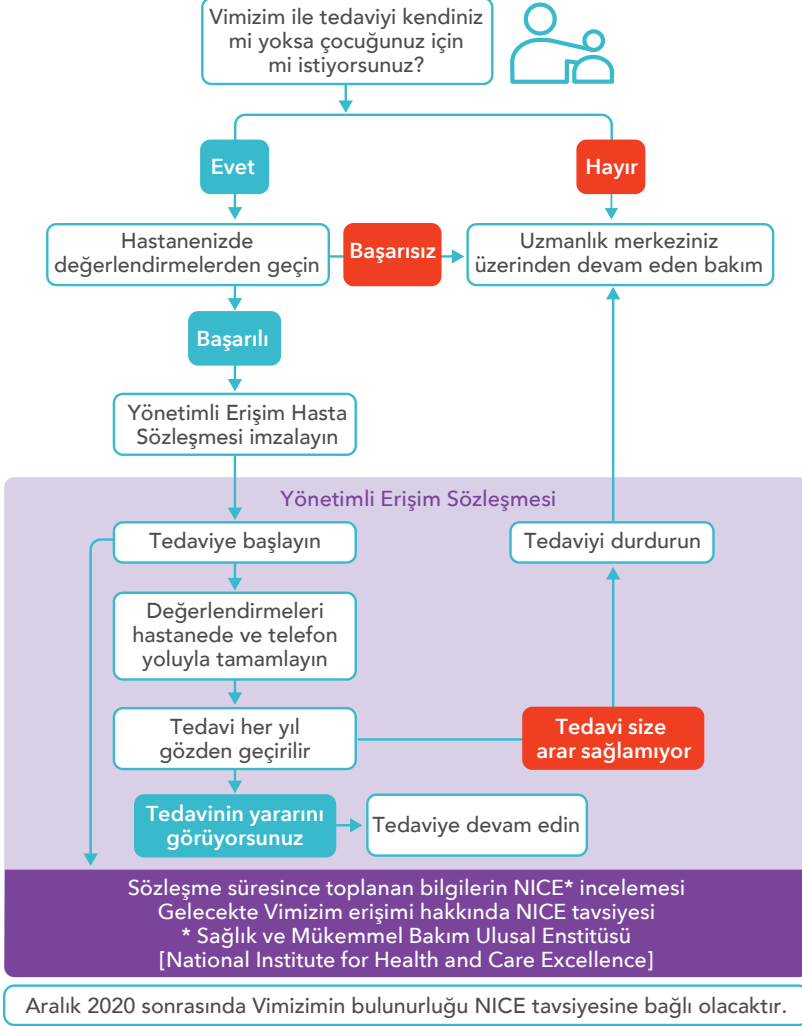
## İçindekiler

|  |    |
|--|----|
| Bu kılavuz hakkında                            | 1  |
| İngiltere’de Vimizim ile tedaviye erişim       | 2  |
| YES’ya katılmaya karar vermek                  | 4  |
| YES tedavisini alma şartları                   | 8  |
| Hastane değerlendirmelerinin tamamlanması      | 8  |
| Anket değerlendirmelerinin tamamlanması        | 8  |
| Haftalık Vimizim infüzyonları                  | 9  |
| Tedavinin yararlarının nasıl ölçüldüğü         | 10 |
| Tedavinin durdurulması                         | 11 |
| YES bitişi                                     | 12 |
| Diğer sorular                                  | 13 |
| Daha fazla bilgi ve destek için nereye gitmeli | 13 |

## Bu kılavuz hakkında

İngiltere’de Enzim yenileme terapisi Vimizim ile Morquio A tedavisi, Yönetimli Erişim Sözleşmesi üzerinden sunulmaktadır.

Bu kılavuz, tedavi görme ve sürdürüm sürecinin nasıl işlediğini açıklamaktadır.



## Sorumluluk Sınırlandırılması

Bu kitapçıkta yer verilen bilgiler, sadece YES'a yönelik bir kılavuz niteliğindedir ve YES Hasta Sözleşmesi'ni imzalamadan önce bütün içeriğini anladığınızdan emin olmanız gerekir. Bu belge tıbbi tavsiyelerde bulunmaz, tıbbi durumunuz hakkında olabilecek tüm sorularınız için her zaman uzman doktorunuzun tavsiyesine başvururuz.

## İngiltere’de Vimizim ile tedaviye erişim

### Niye Yönetimli Erişim Sözleşmesi var

Morquio A için halen mevcut olan tek tedavi, European Medicines Agency [Avrupa Tıbbi Ürünler Değerlendirme Ajansı] tarafından 28 Nisan 2014’te onaylanmış olan elosulfase alfa’dır (Vimizim).

Bu tedavi, İngiltere’de Ulusal Sağlık Hizmeti [National Health Service – NHS] vasıtasıyla sunulmadan önce Vimizim’in hem yararlarını hem de maliyetini değerlendiren Sağlık ve Mükemmel Bakım Ulusal Enstitüsü [NICE] tarafından incelenmiştir.

Lütfen bunun sadece İngiltere’ye yönelik olduğunu not ediniz. Kuzey İrlanda, İskoçya ve Galler için tedavi kararları kendi Sağlık Kurumları tarafından verilmektedir.

NICE, Vimizim’i NHS tedavisi olarak önerip önermeyeceğine karar verirken kesin kararına varmadan önce daha fazlaya bilgiye ihtiyaç duymuşlar.

Sonuç olarak, bir yandan daha fazla bilgi toplanırken diğer yandan tedaviyi sunmak için Yönetimli Erişim Sözleşmesi geliştirilmiştir. Vimizim’e yönelik YES, Aralık 2015’te başlayan beş yıllık bir programdır.

### Yönetimli Erişim Sözleşmesi İçeriği

YES, tedaviyi Morquio A hastalarına sunmaktadır. Kimlerin tedaviye başlayabileceğini ve tedaviye ne zaman son verilmesi gerektiğini belirtir.

### Tedaviye erişim

Eğer tedaviyi kendiniz veya çocuğunuz için istiyorsanız değerlendirmeler sizin uzmanlık merkezinde gerçekleştirilecektir.

Değerlendirmeleri başarıyla tamamlayanlardan Yönetimli Erişim Hasta Sözleşmesi imzalamaları istenecektir. Sonrasında tedaviye başlanabilir.

Tedavinin yararlı olup olmadığını görmek için siz veya çocuğunuz her yıl değerlendirmelerden geçecektir. Eğer Vimizim size veya çocuğunuza yarar sağlıyorsa tedavi devam edecektir. Eğer hiçbir yarar görünmüyorsa veya hasta sözleşmesinde belirtilen şartlar yerine getirilmemişse tedavinin durdurulması gerekebilir.

YES, Aralık 2020’de son bulmaktadır. Bu tarihten sonra tedavinin mevcut olup olmayacağı halen bilinmemektedir ve YES süresince toplanan bilgilerin incelenmesine ve NICE’in tavsiyesine bağlı olacaktır.

## Yönetimli Erişim Sözleşmesi



### Aşağıdaki hallerde tedaviye başlayabilirsiniz:

- Hastane değerlendirmelerini tamamlamanız ve başarıyla geçmeniz gerekir.
- Solunum için vantilatöre ihtiyaç duymamanız gerekir.
- Yaşamı kısıtlayan başka bir ciddi durumunuzun olmaması gerekir.
- YES Hasta Sözleşmesi'ni imzalamanız gerekir.



### Tedaviye devam etmek için:

- Bütün klinik randevularına gelmeniz gerekir.
- Değerlendirme anketlerini doldurmanız gerekir.
- Tedavideki infüzyonlarınızı kaçırmamanız gerekir.
- Değerlendirmelerinizin sonuçlarının, Vimizim'in size yarar sağladığını göstermesi gerekir



### Aşağıdaki hallerde tedavi durdurulabilir:

- Kliniğe gelmemiş iseniz veya değerlendirmelerinizi tamamlamamış olmanız
- Birçok infüzyonu kaçırmamız ise
- Vimizim'in size yarar sağlamıyor olmanız
- Tedaviyi durdurmak istemiş iseniz
- Durdurmak için tıbbi bir gerekçe olmanız



### YES'nin bitişi

- YES, Aralık 2020'de son bulmaktadır
- Sağlık ve Mükemmel Bakım Ulusal Enstitüsü (NICE) Vimizim tedavisinin bu tarihten sonra mevcut olup olmayacağına karar verecektir

## YES'ya katılmaya karar vermek

### YES'ya kimler katılabilir?

Bunu uzman doktorunuzla görüşmeniz gerekecektir. Bir dizi değerlendirme yapacaklar ve sizin veya çocuğunuzun YES'ya katılıp katılmayacağını teyit etmek üzere bazı sorular soracaklardır.



YES kapsamında tedavi aşağıdakiler için mevcuttur:

- Morquio A teşhisi doğrulanmış olanlar
- Sayfa 6'da\* açıklanan değerlendirmeleri tamamlamış olanlar
- Solunum için vantilatöre ihtiyaç duymayanlar
- Yaşamı kısıtlayan başka bir ciddi durumu olmayanlar
- YES Hasta Sözleşmesini imzalayanlar

### CYES'ya ileriki bir tarihte katılabilir miyim?

Kendinizin veya çocuğunuzun YES'ya ne zaman katılmak ve tedaviye başlamak isteyeceğine siz karar verebilirsiniz.

Eğer tedaviye ileriki bir tarihte başlamak isterseniz yine de tedavi başlamadan önce değerlendirmelerden başarıyla geçmeniz gerekecektir. Eğer bu zamana gelinceye kadar sizin veya çocuğunuzun durumu değiştiyse ve artık bu değerlendirmeleri başarıyla geçemiyorsanız siz veya çocuğunuz tedaviye başlayamayacaktır.

\* Beş yaşın altında olup bütün testleri tamamlayamayacak çocuklar için esneklik tanınmıştır

Eğer YES tamamlanmışsa veya programa artık kayıt yapılmıyorsa ileriki bir tarihte tedaviye erişim açık olmayabilir. Halen YES'nın Aralık 2020'de son bulması öngörülmüyor.

### **Vimizim YES'ya katılanlardan ne bekleniyor?**

Yönetimli Erişim Hasta Sözleşmesi imzalamanız gerekecektir. Uzmanlık merkezindeki personel sözleşmeyi sizinle birlikte gözden geçirecektir. Sözleşmeyi imzalamakla YES'da belirtilen tüm şartları kabul etmiş oluyorsunuz. Ne yapmanız gerektiğini anlamak için lütfen sözleşmeyi dikkatle okuyunuz.

Şartları yerine getirmediğiniz takdirde tedavi durdurulabileceği için emin olmadığınız her şeyi uzman doktorunuza sorunuz.

Sizden şunlar beklenecektir:

- Hastane değerlendirmelerini tamamlamak için bütün klinik randevularına katılmanız gerekir
- Değerlendirme anketlerini gerektiği gibi doldurmanız gerekir
- Haftalık Vimizim infüzyonlarını almanız ve (tıbbi gerekçelerle tedaviye ara vermek dışında) herhangi bir 14 aylık dönemde üçten fazla infüzyonu kaçırmamanız gerekir

### **Hastaneye ne sıklıkta gelmem gerekiyor?**

Tedavi başladığında Vimizim infüzyonu almak üzere her hafta hastaneye gelmeniz gerekecektir. Bu başlangıç döneminin ardından ev bakımı paketine geçeceksiniz ve bu aşamada size eğitilmiş bir hemşire tarafından ev, okul veya işyerinde haftada bir infüzyon verilecektir

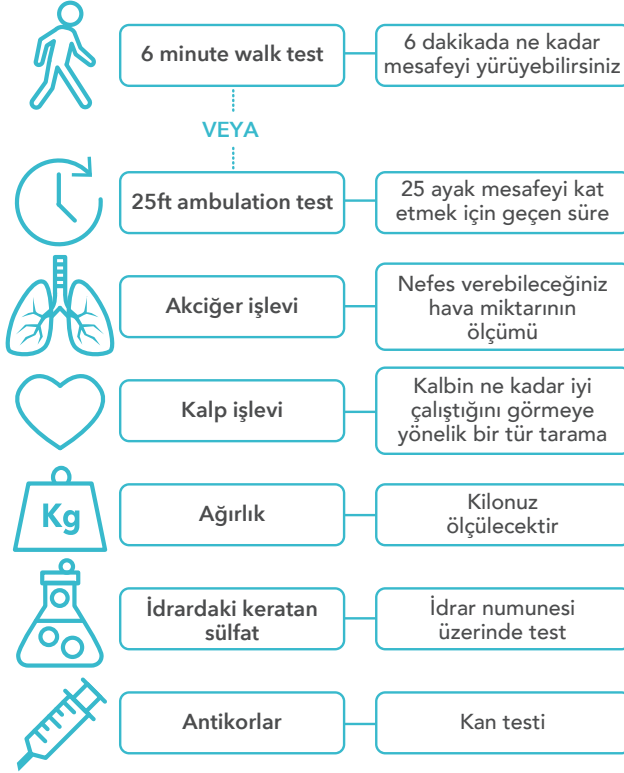
Hastaların ve ailelerin infüzyon konusunda bağımsız veya yarı-bağımsız olmayı öğrenmeleri önerilir. Eğitim verilecektir, lütfen uzmanlık merkezinizden bu konuda daha fazla bilgi isteyiniz.

Ayrıca, halen altı ayda bir gerçekleşmekte olan hastane değerlendirmelerinin tümüne katılmanız da gerekecektir.

## Hastane deęerlendirmeleri nelerdir?

Bu deęerlendirmeler, tedavinin etkilerini ölçmek için kullanılır. Hastaneye geldiğinizde, siz veya çocuęunuz ařaęıdaki deęerlendirmelerden geçecektir:

### Hastane deęerlendirmeleri



## Deęerlendirme anketleri nelerdir?

YES süresince birtakım deęerlendirme anketleri doldurmanız gerekecek. Bunlar tedavinin siz veya çocuęunuzun yařam kalitesi üzerindeki etkisini ölçmek için kullanılmaktadır.

Ebeveyn veya vasi, anketleri yaşı 12'nin altındaki çocuklar adına doldurur.



## Değerlendirme anketleri

|            |   |
|------------|---|
| Yılda bir  | <b>EQ-5D-5L</b><br>Yaşam kalitesini ölçmek için kullanılan kısa bir anket   |
| Yılda bir  | <b>MPS Sağlık Değerlendirmesi Anketi</b><br>[MPS Health Assessment Questionnaire]<br>Günlük görevlere ve bunları yapmak için ne kadar yardıma ihtiyaç duyulduğuna bakan daha uzun bir anket |
| 4 ayda bir | <b>Ağrı anketi</b><br>Bu kısa anketler, infüzyondan önceki gün ve infüzyondan sonraki gün de yine doldurulur  |
| Yılda bir  | <b>Beck Depresyon Envanteri</b><br>[Beck Depression Inventory]<br>Ruh halini değerlendirmek üzere 13 yaş ve üzerindeki kişilerde kullanılır   |

## Değerlendirme anketlerini nasıl doldururum?

Anketler çoğu zaman telefonda, MPS Commercial [MPS Ticari] (MPS Society'nin parçası) YES ekibinin bir üyesi ile birlikte doldurulur. Ekibin bir üyesi, anketlerin doldurulması için uygun bir zaman ayarlamak üzere sizinle temasa geçecektir.

MPS Commercial gerekli randevuları ayarlamak ve anketlerinizi doldurmak için sizi dört ayda bir telefonla arayacaktır. İlk arama yaklaşık 45 dakika sürecek, diğer aramalar ise çok daha kısa olacaktır.

Eğer ilk diliniz İngilizce değilse, telefon araması sırasında size yardımcı olmak üzere bir tercüman sağlanacaktır.

## YES'daki tedavi görme şartları

### Tedavide kalmak için



Değerlendirmeleri tamamlamak için bütün klinik randevularınıza gelin



Gerekli değerlendirme anketlerinin hepsini doldurun



Haftalık infüzyonlarınızı kaçırmayın



Değerlendirmelerinizin sonuçlarının Vimizim'in size yarar sağladığını göstermesi gerekir

Vimizim tedavisinde kalmak için Yönetimli Erişim Hasta Sözleşmesi belirtilen şartları karşılamanız zorunludur.

Bu şartlar, hastane değerlendirmelerini tamamlamak üzere bütün klinik randevularına gelmeniz, bütün anket değerlendirmelerini tamamlamanız ve haftada bir infüzyon almanızdır.

Vimizim ile tedavinin size veya çocuğunuza yarar sağlıyor olması gerekir. Değerlendirmelerin sonuçları, tedavinin yararını ölçmek üzere kullanılır.

### Hastane değerlendirmelerinin tamamlanması



YES'ya devam ederken her altı ayda bir hastane değerlendirmelerini tamamlamak üzere kliniğinize gelmeniz gerekecektir. Bu değerlendirmeler, YES'nın önemli bir kısmıdır ve tedavinin size veya çocuğunuza yarar sağlayıp sağlamadığını belirlemek üzere kullanılır. Değerlendirmeler 6. sayfada sıralanmıştır.

### Anket değerlendirmelerinin tamamlanması



Her dört ayda bir, anket değerlendirmelerini tamamlamanız da gerekecektir. Bütün bu değerlendirmelerin tamamlanması önemlidir çünkü bunların sonuçları, tedavinin size veya çocuğunuza yararayıp yaramadığını değerlendirmek için de kullanılır. Kullanılan anketler 7. sayfada sıralanmıştır

## Haftada bir Vimizim infüzyonları



Vimizim infüzyonları haftada bir uygulanır. Tedavi başladığında Vimizim infüzyonu almak üzere her hafta hastaneye gelmeniz gerekecektir. Bunun ardından ev bakımı paketine geçeceksiniz ve bu aşamada size eğitimli bir hemşire tarafından ev, okul veya işyerinde haftada bir infüzyon verilecektir.

Hastaların ve ailelerin infüzyonda bağımsız veya yarı-bağımsız olmayı öğrenmeleri teşvik edilmektedir. Bu konuda eğitim verilecektir, lütfen uzmanlık merkezinizden bu konuda daha fazla bilgi isteyiniz.

### İnfüzyonları kaçırmamak niye önemlidir?

Tedaviden maksimum faydayı sağlamak için infüzyonların atlanmaması temel önem taşır. Herhangi bir 14 aylık dönemde üçten fazla infüzyonun kaçırılmaması (tıbbi gerekçelerle tedaviye ara vermek dışında) YES'nın bir gerekliliğidir.

### Tıbbi gerekçelerle infüzyonlar atlanırsa ne olur?

Tıbbi gerekçelerle bazen infüzyon almak mümkün olmayabilir. Bunlar, örneğin port veya kanülasyon sorunları olabilir. Eğer tıbbi gerekçelerle birkaç infüzyonu kaçırsanız tıbbi sorun çözüldüğünde Vimizim ile tedaviye devam edebilirsiniz. Bu konuyu size tavsiyelerde bulunabilecek olan uzman doktorunuzla görüşünüz.

### YES süresince tatile çıkabilir miyiz?

Tedavinizi tatilde yanınıza almanıza izin verilmeyecektir, ancak herhangi bir 14 aylık dönemde üçten fazla infüzyonu kaçırmayacağınız anlamına geliyorsa kısa bir tatile çıkabilirsiniz.

Eğer tatilden ötürü infüzyonlara ara vermek isterseniz, bunu önceden uzman doktorunuzla görüşerek YES şartlarını ihlal etmeyeceğinizden emin olunuz, çünkü bu tedavinin durdurulmasına yol açabilir.

### Kendi tedavimi veya çocuğumun tedavisini durdurmaya karar verir fakat daha sonra tedaviye devam etmek istersem ne olur?

Tedaviyi durdurma kararı verdikten sonra YES yürürlükteyken daha sonraki bir tarihte Vimizim ile tedaviye yeniden başlamanıza izin verilmeyecektir. Henüz, YES'nın Aralık 2020'de kapanmasından sonrasına dönük düzenlemeler bilinmemektedir.

## Tedavinin faydaları nasıl ölçülür

- Yukarıda ana hatlarıyla belirtilen şartlara ilaveten YES kapsamında
- Tedaviye devam etmek için Vimizim'in size yarar sağladığına dair
- kanıtlara gerek vardır.

Uzmanlık merkezinde tamamlanan hastane değerlendirmeleri sonuçları her yıl gözden geçirilir. Anket değerlendirmeleri de her yıl gözden geçirilir. Tedavinin yararı, aşağıdaki beş ölçünün dördünde başarılı olmak olarak tanımlanır.

1. Hareketlilik – 6 minute walk test veya 25 ft ambulation test
2. Akciğer işlevi
3. Değerlendirme anketleri
4. İdrardaki keratan sülfat seviyesi
5. Kalp işlevi

Bu ölçülerde başarılı olmakla ilgili tanımlamalar, herkesin eşit ve adil muamele gördüğünden emin olmak için YES'da detaylı olarak belirtilmiştir. Uzman doktorunuz ölçüleri sizinle görüşecek ve ölçülerin, tedavinin size veya çocuğunuza yarar sağladığını gösterip göstermediğini açıklayacaktır. Eğer istisnai durumlar bu ölçülerden herhangi birini geçici olarak etkilemişse (örn. yakın geçmişteki bir ameliyat), tedaviye devam edip etmeye karar verirken bunlar göz önünde bulundurulabilir.

### Beş yaşın altındaki çocuklara dönük esneklik

Küçük çocuklar bütün değerlendirmeleri tamamlayamayabilecekleri için beş yaşın altındaki çocuklara beş yaşına gelinceye kadar yukarıdaki ölçülerde otomatik olarak başarılı geçiş yaptırılır ve sonrasında da herkes gibi tedavinin yararı hususunda değerlendirme yapılır.

## Tedavinin durdurulması

Eğer YES şartlarını yerine getirmezseniz veya değerlendirmeler tedaviden yarar sağlandığını göstermiyorsa tedavi durdurulabilir.

Tedavinin durdurulmasının gerekeceği anlamına gelen başka durumlar olabilir ve dilediğiniz zaman kendiniz de tedaviyi durdurmayı talep edebilirsiniz.

### Tedavinin durdurulabilmesinin gerekçeleri



Gereken hastane ve anket değerlendirmelerini tamamlamadınız



Herhangi bir 14 aylık dönemde üçten fazla infüzyonu kaçırdınız



Değerlendirme sonuçlarınız Vimizim'in size yarar sağlamadığını gösteriyor



Tedaviyi durdurmak istiyorsunuz



Vimizim infüzyonlarına ciddi reaksiyon veya başka bir ciddi hastalık gibi tıbbi durumunuz

### Vimizim'in bana veya çocuğuma hiçbir yarar sağlamadığını düşünürsem ne olur?

Eğer Vimizim tedavisinin hiçbir yarar sağlamadığını düşünüyorsanız lütfen bunu uzman doktorunuzla görüşün. YES'ya devam etmemeye karar verirseniz tedaviden çekilebilirsiniz.

### Benim veya çocuğumun Morquio A semptomları kötüleşirse ne olur?

Vimizim ile tedavi görürken sizin veya çocuğunuzun semptomlarının kötüleştiğini hissederseniz lütfen bunu uzman doktorunuzla görüşün.

## Tedavinin durdurulmasının başka gerekçeleri var mı?

Eğer siz veya çocuğunuz, infüzyonla ilgili olup çözümlenemeyecek olan ciddi reaksiyondan ötürü infüzyonları tolere edemiyorsa, Vimizim ile tedavinin durdurulması gerekecektir.

Eğer hayatı tehdit eden ve önceliği olan başka bir hastalık teşhis edilirse, Vimizim ile tedaviye devam edilmesinin gözden geçirilmesi gerekebilir. Uzman doktorunuz, tedavinizde herhangi bir değişiklik yapılmadan önce bunu sizinle görüşmeyi isteyecektir.

## Vimizim tedavisi durdurulursa ne olur?

Eğer herhangi bir gerekçeyle tedavinin durdurulması gerekirse, uzman doktorunuz bunu sizinle görüşecektir. Hastanenizden bakım ve destek almaya devam edeceksiniz.

MPS Society da size ve ailenize destek sağlayabilir. İrtibat bilgilerini 13. sayfada bulabilirsiniz.

## Ben veya çocuğum tedaviden çıkarılırsak itirazda bulunabilir miyim?

Değerlendirmelerin yanlış yapıldığını veya bilgilerin uygunsuz biçimde toplandığını düşünüyorsanız itirazda bulunabilirsiniz. Bu durumda, başka bir hastanede değerlendirmelerin tekrar edilmesini isteyebilirsiniz. Seyahat ve ilgili masraflar sizin tarafınızdan ödenecektir.

## YES'nin bitişi



YES'nin Aralık 2020'de son bulması programlanmıştır. Bu tarihten sonra Vimizim'in mevcut olup olmayacağı, YES sırasında Vimizim tedavisinin etkileri hakkında toplanan bilgilerin incelemesine bağlı olacaktır. NICE'nin bu incelemesi 2020 süresince gerçekleşecek ve NICE 2020 sonu itibarıyla kendi önerisini sunacaktır.

## Ben veya çocuğum ne kadar süre Vimizim ile tedavi göreceğim?

Tedaviye devam şartlarının yerine getirilmesi kaydıyla, şu anda tedavi Aralık 2020'de son buluncaya kadar YES kapsamındakilere sunulacaktır.

Aralık 2020 sonrasında Vimizim'in sürekli bulunurluğu, YES sırasında toplanan bilgilere dayalı olarak NICE'in yaptığı öneriye bağlı olacaktır.

## Diğer sorular



### Hamile kalırsam veya aile kurmak istersem ne olur?

Eğer Vimizim ile tedavi sırasında hamile kalırsanız veya aile kurmak isterseniz lütfen bunu derhal uzman doktorunuzla konuşun.

### Vimizim ile tedaviye erişim hakkında NICE tarafından verilen son karar konusunda bilgilendirilecek miyim?

Tedaviye erişiminizi değiştirebilecek tüm kararları uzman doktorunuz size bildirecektir.

### Tedaviyi durdurdum, niye benden anket değerlendirmelerine devam etmem isteniyor?

Tedaviyi durdurmuşsanız, MPS Commercial araştırma maksatları için sizinle anket değerlendirmelerine devam etmek istemektedir. Bu araştırma, Vimizim ile tedavinin etkilerini ve tedavi durdurulduğunda Morquio A'nın seyrini daha fazla anlamamıza yardımcı olur. Sizin bu araştırmaya katılımınız gönüllülük esasına dayanır.

## Daha fazla bilgi ve destek için nereye gitmeli

### Uzman doktorunuz

Tedaviniz veya YES hakkındaki herhangi bir şeyden emin değilseniz uzman doktorunuzla konuşun.

### The MPS Society

Destek ve tavsiye için dilediğiniz zaman MPS Society ile irtibata geçebilirsiniz.

Telefon: **0345 389 9901**

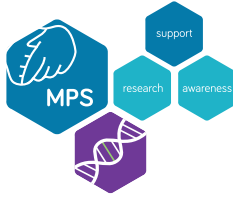
Çalışma saatleri dışı destek hattı: **07712 653258**

E-posta: **advocacy@mpssociety.org.uk**

İnternet: **www.mpssociety.org.uk**

### YES belgeleri

YES'nin tam metni şu adresten bulunabilir: <https://www.nice.org.uk/guidance/hst2/resources/managed-access-agreement-december-2015-2238935869>



Bu belge, Mayıs 2019’da MPS Commercial tarafından hazırlanmıştır.

Copyright 2019 MPS Commercial. Tüm hakları saklıdır.

MPS Commercial

MPS House, Repton Place, White Lion Road

Amersham, Buckinghamshire, HP7 9LP, Birleşik Krallık

+44 (0) 345 260 1087

info@mpspact.com

Bu kılavuzun hazırlanması, BioMarin Europe Ltd. tarafından desteklenmiştir.

MPS Commercial, İngiltere ve Galler’de 1143472 sicil numarasıyla kayıtlı bir Hayır Kuruluşu olan Society for Mucopolysaccharide Diseases’in (the MPS Society) tamamen sahibi olduğu ve kar amacı gütmeyen kuruluşudur.