

POTILAAN JA VANHEMMAN/HUOLTAJAN OPAS

LIBMELDY™ ▼ 2 - 10 x 10⁶ solua/ml infuusioneste, dispersio

(atidarsagene autotemcel)

Tärkeää tietoa riskien minimoinnista ja opas Libmeldy-geeniterapiaa saaneille potilaille ja heidän huoltajilleen (Libmeldy on autologisilla CD34+-soluilla rikastettu solupopulaatio, joka sisältää hematopoeettisia kanta- ja esisoluja (HSPC), jotka on transdusoitu *ex vivo* käyttämällä ihmisen aryyilisulfataasi A -geeniä (ARSA) koodaavaa lentivirusvektoria).

Lue tämä pakkausseloste huolellisesti ennen kuin lapsellesi (tai sinulle) annetaan tätä lääkettä, sillä se sisältää sinulle tärkeitä tietoja.

▼ Tähän lääkevalmisteeseen kohdistuu lisäseuranta. Tällä tavalla voidaan havaita nopeasti turvallisuutta koskevaa uutta tietoa. Ilmoittamalla haittavaikutuksista voit auttaa saamaan enemmän tietoa tämän lääkevalmisteen turvallisuudesta. Kun ilmoitat mahdollisista haittavaikutuksista, liitä mukaan potilaskortissa oleva lääkkeen eränumero.

Jos havaitset lapsellasi haittavaikutuksia, kerro niistä lääkärille tai sairaanhoitajalle. Tämä koskee myös kaikkia mahdollisia haittavaikutuksia, joita ei ole mainittu pakkausselosteessa. Katso tämän oppaan lopusta, miten voit ilmoittaa haittavaikutuksista.

Tietoja tästä oppaasta

Tämän oppaan tiedot ovat oleellisia lapsesi metakromaattiseen leukodystrofiaan (MLD) tarkoitetun Libmeldy-geeniterapian tehokkaan seurannan varmistamiseksi. Tiedoissa kuvataan, miksi ja miten tämä tulisi tehdä. Lue tämä opas huolellisesti ja ota yhteyttä lapsesi erikoislääkäriin, jos sinulla on kysyttävää.

Geeniterapia MLD:n hoitoon ja verisyövän riski

Tapa, jolla ARSA-geenin toiminnallinen kopio liitetään lapsesi kantasoluihin, voi mahdollisesti muuttaa näiden solujen geneettistä materiaalia. Tämä voi aiheuttaa lapsellesi leukemia- tai lymfoomarisikin. Leukemia ja lymfooma ovat syöpätyyppejä, jotka vaikuttavat valkosoluihin. Yhdellekään Libmeldy-valmistetta kliinisissä tutkimuksissa saaneelle potilaalle ei ole kehittynyt leukemiaa tai lymfoomaa, mutta on olemassa pieni riski, että näin saattaa tapahtua tulevaisuudessa. Siksi on tärkeää seurata leukemian tai lymfooman oireita.

Leukemian tai lymfooman oireita voivat olla esimerkiksi kuume, hengenahdistus, kalpeus, yöhikoilu, väsymys, turvonneet imusolmukkeet, toistuvat infektiot, herkästi syntyvät verenvuodot ja/tai mustelmat tai pienet punaiset tai violetit ihonalaiset läiskät. Jos lapsellesi kehittyy jokin näistä oireista, ota välittömästi yhteyttä erikoislääkäriin, ja ilmoita nämä tiedot myös käyttämällä tämän oppaan lopussa annettuja yhteystietoja.

Erikoislääkäri tarkistaa, onko lapsesi veressä merkkejä leukemiasta tai lymfoomasta rutiininomaisissa vuositarkastuksissa. Näiden tarkastuksen tulee jatkua hoidon jälkeen.

Potilaskortti

Kun lastasi on hoidettu Libmeldy-valmisteella, hän saa potilaskortin, joka sisältää erittäin tärkeää tietoa. Libmeldy-valmistetta saaneen henkilön tai hänen vanhempansa/hoitajansa on kannettava mukanaan potilaskorttia, niin että terveydenhuollon ammattilaiset saavat tietää, että henkilöä on hoidettu Libmeldy-valmisteella.

Säännöllisen seurannan tärkeys

Erikoislääkäri seuraa lapsesi edistymistä ajan mittaan tarkistaakseen tässä oppaassa kuvatut riskit ja mahdolliset muut oireet. Joidenkin potilaiden voi olla vaikea ilmaista vointiaan. Älä epäröi ilmoittaa mahdollisista oireista tai huolenaiheista erikoislääkärille.

Osallistuminen pitkäaikaiseen seurantatutkimukseen

Libmeldy-hoitoa saaneille potilaille on aloitettu pitkäaikainen seurantatutkimus, jotta tämän lääkkeen pitkäaikaisvaikutukset ymmärrettäisiin paremmin. Lapsesi hoitava lääkäri ilmoittaa sinulle tästä.

Haittavaikutusten raportointi

Jos havaitset lapsellasi haittavaikutuksia, kerro niistä lääkäriin tai sairaanhoitajalle. Tämä koskee myös kaikkia mahdollisia haittavaikutuksia, joita ei ole mainittu pakkausselosteessa.

Ilmoita haittavaikutuksista seuraavalle taholle: Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea, www-sivusto: www.fimea.fi, Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea, Lääkkeiden haittavaikutusrekisteri, PL 55, 00034 FIMEA.

Ilmoita haittavaikutuksista myös Orchard Therapeuticsille:
sähköposti: drugsafety@orchard-tx.com

Ilmoittaessasi haittavaikutuksista liitä mukaan potilaskortissa oleva lääkkeen eränumero.

Fimean hyväksymispäivämäärä: 30.11.2021.