

# VÄGLEDNING FÖR PATIENTER OCH FÖRÄLDRAR/VÅRDGIVARE

**LIBMELDY™ ▼ 2 - 10 x 10<sup>6</sup> celler/ml infusionsvätska, dispersion**

(atidarsagene autotemcel)

**Viktig uppföljningsinformation med avseende på riskminimering och utbildande vägledning för patienter och vårdgivare till patienter som har fått genterapi med Libmeldy** (en autolog CD34<sup>+</sup>-cellberikad population som innehåller hematopoetiska stam- och progenitorceller (HSPC) transducerade *ex vivo* med en lentiviral vektor som kodar för den humana arylsulfatas A-genen (ARSA)).

**Läs noga igenom denna bipacksedel innan ditt barn (eller du) får detta läkemedel. Den innehåller information som är viktig för dig.**

▼ Detta läkemedel är föremål för utökad övervakning. Detta gör det möjligt att snabbt identifiera ny säkerhetsinformation. Genom att rapportera biverkningar kan du bidra till att öka informationen om läkemedels säkerhet. Vid rapportering av eventuella biverkningar ska det enskilda läkemedlets satsnummer som finns på patientkortet anges.

Om ditt barn får biverkningar, tala med läkare eller sjuksköterska. Detta gäller även eventuella biverkningar som inte nämns i denna information. Se slutet av denna vägledning för information om hur du rapporterar biverkningar.

## Om denna vägledning

Informationen i denna vägledning är viktig för att säkerställa effektiv uppföljning efter ditt barns genterapibehandling med Libmeldy mot metakromatisk leukodystrofi (MLD) och beskriver varför och hur detta ska utföras. Läs denna vägledning noggrant och kontakta ditt barns specialistläkare om du har några frågor.

## **Genterapi mot MLD och risk för blodcancer**

---

Sättet på vilket den fungerande ARSA-genen placeras i ditt barns stamceller kan potentiellt modifiera det genetiska materialet i dessa celler. Detta kan innebära en risk för ditt barn att utveckla leukemi eller lymfom, vilka är typer av cancer som påverkar de vita blodkropparna. Ingen av de patienter som fått Libmeldy i kliniska prövningar har utvecklat leukemi eller lymfom, men det finns en liten risk för att detta skulle kunna inträffa i framtiden. Därför är det viktigt att övervaka med avseende på symtom på leukemi eller lymfom.

Symtom på leukemi eller lymfom kan inkludera feber, andfåddhet, blekhet, nattliga svettningar, trötthet, svullna lymfkörtlar, återkommande infektioner, en tendens till att blöda och/eller lätt få blåmärken, eller små röda eller lila fläckar under huden. Kontakta genast din specialistläkare om ditt barn utvecklar något av dessa symtom och rapportera även denna information med hjälp av de kontaktuppgifter som finns i slutet av denna vägledning.

Specialistläkaren kommer att kontrollera ditt barns blod efter eventuella tecken på leukemi eller lymfom under de årliga rutinkontrollerna, som sker efter behandlingen.

## **Patientvarningskort**

---

Efter att ditt barn har behandlats med Libmeldy kommer hen att få ett patientvarningskort som innehåller mycket viktig information. Patientvarningskortet måste bäras av den person som har fått Libmeldy eller av deras förälder/vårdgivare för att informera all behandlande hälso- och sjukvårdspersonal om att de har behandlats med Libmeldy.

## **Vikten av regelbunden övervakning**

---

En specialistläkare kommer att följa ditt barns framsteg fortsättningsvis med avseende på de utvalda riskerna som förklaras i denna vägledning och eventuella andra symtom. Det kan vara svårt för vissa patienter att uttrycka hur de mår. Tveka inte att rapportera eventuella symtom eller farhågor till specialistläkaren.

## **Rekrytering till en långsiktig uppföljningsstudie**

---

En långsiktig uppföljningsstudie har upprättats för att följa de patienter som behandlats med Libmeldy för att öka kunskapen om de långvariga effekterna av detta läkemedel. Ditt barns behandlande läkare kommer att informera dig om detta.

## **Rapportering av biverkningar**

---

Om ditt barn får biverkningar, tala med ditt barns läkare eller sjuksköterska. Detta gäller även eventuella biverkningar som inte nämns i denna information.

Rapportera biverkningar till Säkerhets- och utvecklingscentret för läkemedelsområdet Fimea, Biverkningsregistret, PB 55, 00034 FIMEA, webbplats: [www.fimea.fi](http://www.fimea.fi).

Rapportera även biverkningar till:  
Orchard Therapeutics, E-post: [drugsafety@orchard-tx.com](mailto:drugsafety@orchard-tx.com)

Vid rapportering av biverkningar ska det enskilda läkemedlets satsnummer som står på patientvarningskortet anges.