

Du ska förhindra eller senarelägga graviditet hos din kvinnliga partner under 6 månader med hjälp av ett effektivt preventivmedel.

- Tala med läkaren om effektiva preventivmedel
- Informera läkaren om din partner blir gravid
- Donera inte sperma under 6 månader efter att du har tagit ROCTAVIAN®

Blodproppar

ROCTAVIAN® kan öka FVIII-nivåerna över det normala under en tid. Dessa nivåer över det normala kan öka risken för att utveckla blodproppar.

Innan du tar ROCTAVIAN®:

Läkaren tar upp eventuella riskfaktorer för blodproppar eller hjärtkärlsjukdom som kan påverka din möjlighet att få ROCTAVIAN®.

Efter att du har tagit ROCTAVIAN®:

Läkaren kontrollerar dina FVIII-nivåer i blodet och ger dig råd om behandling om dina nivåer är över det normala, baserat på eventuella riskfaktorer som du kan ha.

Informera läkaren omedelbart om du får tecken eller symptom på blodproppar, såsom, men inte begränsat till, tecken på stroke (t.ex. svaghet, talsvårigheter, ansiktet hänger), tecken på en hjärtinfarkt (t.ex. obehag i bröstet, smärta i käken, andnöd, kallsvettning, yrsel, svullet ben). Sök sjukvård akut om detta inträffar.

FVIII-hämmare

Blodprover tas för att bedöma om du utvecklar hämmare (neutraliserande antikroppar) mot FVIII.

Cancerrisk som möjligen är förknippad med ROCTAVIAN®

ROCTAVIAN® förs in i humant lever-DNA och kan även föra in DNA i andra humana kroppsceller. Som en följd av detta kan ROCTAVIAN® bidra till en risk för cancer. Även om det inte finns några bevis för det i kliniska prövningar än så länge, är det fortfarande möjligt på grund av hur läkemedlet ROCTAVIAN® fungerar. Om cancer bildas kan läkaren ta ett prov för ytterligare utvärdering.

Långvariga effekter

En långvarig uppföljningsstudie har upprättats för att följa patienter som behandlats med ROCTAVIAN®. Läkaren kommer att informera/diskutera hur du kan skrivas in i uppföljningsstudien för att bättre kunna förstå långtidseffekterna av ROCTAVIAN®.

RAPPORTERING AV BIVERKNINGAR

Rapportera eventuella biverkningar direkt till BioMarin via drugsafety@bmrn.com; tel: +1-415-506-6179 eller fax: +1-415-532-3144.

När du rapporterar eventuella biverkningar, ska du bifoga läkemedlets batch/lotnummer som finns på patientkortet.

Rapportering av biverkningar

Om du får biverkningar, tala med läkare, apotekspersonal eller sjuksköterska. Detta gäller även eventuella biverkningar som inte nämns i denna information. Du kan också rapportera biverkningar direkt till:

Säkerhets- och utvecklingscentret för läkemedelsområdet Fimea

Biverkningsregistret

PB 55

00034 FIMEA

Webbplats: www.fimea.fi

Genom att rapportera biverkningar kan du bidra till att öka informationen om läkemedels säkerhet.

För mer information, maila: info_nordic@bmrn.com

När du rapporterar eventuella biverkningar ska du bifoga läkemedlets batch/lotnummer som finns på patientvarningskortet.

EN PATIENTGUIDE – ROCTAVIAN® ▼ (valoktokogen-roxaparvovek)

Denna patientguide är en obligatorisk del av försäljningsgodkännandet.

Den är avsedd som en riskminimeringsåtgärd, för att säkerställa att patienter känner till hur man använder ROCTAVIAN® och därmed minskar den möjliga risken för biverkningar.

▼ Detta läkemedel är föremål för utökad övervakning. Detta kommer att göra det möjligt att snabbt identifiera ny säkerhetsinformation. Genom att rapportera biverkningar, kan du ge mer information om hur säkert detta läkemedel är.

OM PATIENT-GUIDEN

Läs hela patientguiden noggrant innan du tar detta läkemedel, eftersom den innehåller viktig information. Läkaren informerar om och diskuterar risker, nytta och osäkerheter med behandling med ROCTAVIAN® innan beslut om behandling fattas.

Innan det beslutas om ROCTAVIAN® är rätt behandling för dig, ska du ta upp följande punkter med läkaren:

- Alla patienter kanske inte har nytta av behandling med ROCTAVIAN® och orsakerna till detta har inte fastställts. Patienter som inte svarar på behandling utsätts ändå för långtidsrisker

- I de flesta fall krävs en tilläggsbehandling till ROCTAVIAN® med kortikosteroider för att hantera den leverskada som ROCTAVIAN kan ge. Läkaren ser till att du regelbundet tar blodprov för att kontrollera hur ROCTAVIAN® fungerar och för att bedöma leverns hälsa. Du ska informera vårdgivaren om du använder kortikosteroider eller andra läkemedel som påverkar immunförsvaret. Om du inte kan ta kortikosteroider, kan läkaren rekommendera alternativa läkemedel för att hantera problem med levern

- ROCTAVIAN® har en viral vektorkomponent, och den kan förknippas med en ökad risk för malign tumör

- Följ läkarens anvisningar för att kontrollera och minimera biverkningar

- Du måste göra en del nödvändiga tester som läkaren rekommenderar för att säkerställa att du är lämplig för behandlingen

- Du kommer att tillfrågas om att ingå i en uppföljningsstudie under 15 år efter behandlingen så att långtidseffekter av ROCTAVIAN® kan kontrolleras

Spara denna guide så att du kan läsa den igen senare. Tala med din läkare eller sjuksköterska om du får några biverkningar. Detta innefattar även biverkningar som inte finns angivna i patientguiden. Läs i slutet av guiden hur du rapporterar biverkningar.

Efter att du har fått ROCTAVIAN® får du ett patientkort. Du måste alltid ha med dig patientkortet så att du kan informera sjukvårdspersonal om att du har behandlats med ROCTAVIAN®.

ÖVERSIKT ÖVER ROCTAVIAN®

Kroppen består av många celler och varje cell innehåller instruktioner som kallas gener. Dessa gener hjälper cellerna att tillverka proteiner som behövs för att kroppen ska fungera som den ska. Ibland saknas en gen, eller är felaktig, och då uppstår ett problem med produktionen av eller funktionen hos proteinet. Hemofili A uppstår när ett protein, Faktor VIII, som behövs för att blodet ska koagulera, inte tillverkas på grund av att genen saknas eller inte fungerar korrekt. Genterapi kallas den behandling där felaktiga gener byts ut mot friska.

ROCTAVIAN® är en genterapi som innehåller den rätta genen för att kroppen ska kunna tillverka egen FVIII, som sedan förhindrar blödning eller minskar blödningsepisoder.

För att dirigera genen till levercellerna, där FVIII produceras, förses genen med ett yttre skal från ett virus (som kallas vektor). Vektorn som används i studien är en adeno-associerad virus typ 5-vektor (AAV5), ett litet virus som inte är känt för att ge sjukdom. Detta läkemedel används för behandling av ärftlig, allvarlig hemofili A hos vuxna som inte har eller har haft hämmare mot faktor VIII och som inte har antikroppar mot viruset, AAV5.

BEHANDLING MED ROCTAVIAN®

ROCTAVIAN® Infusion

ROCTAVIAN® administreras via dropp (intravenös infusion) i en ven. Infusionen kan ta flera timmar.

Vissa biverkningar kan förekomma under eller strax efter infusion med ROCTAVIAN®. Om du känner något av följande, ska du informera sjuksköterskan eller läkaren omedelbart:

- Utslag (nässelutslag eller andra utslag), klåda
- Andningssvårigheter, nysningar, hosta, rinnande näsa, vattniga ögon, kittlingar i halsen
- Illamående, diarré
- Högt eller lågt blodtryck, snabb hjärtklappning, yrsel (svimningskänsla)
- Muskelsmärta, ryggsmärta
- Feber, frossa

Leverhälsa

ROCTAVIAN® verkar genom att tillhandahålla rätt gen för att tillverka FVIII till dina leverceller. Läkaren kommer att ge dig råd om hur du kan förbättra din leverhälsa.

Innan du tar ROCTAVIAN®:

Du kan inte behandlas med ROCTAVIAN® om du har avancerad kronisk leversjukdom eller har haft levercancer. Läkaren kan råda dig att inte behandlas med ROCTAVIAN® om du har en annan leversjukdom som kan förhindra att ROCTAVIAN® fungerar på ett bra sätt. Därför måste du genomgå en del nödvändiga tester som din läkare rekommenderar för att säkerställa att det är säkert att behandla dig.

Din levers och din allmänna hälsa, inklusive alla nya eller pågående läkemedel som du tar, kommer att bedömas för att se om du kan behandlas med ROCTAVIAN®.

Många patienter i kliniska prövningar av ROCTAVIAN® fick milda till måttliga ökningar av enzymer som produceras av levern och som kan påverka produktionen av FVIII. Då kan kortikosterioder behövas. Tänk på att efter att du har tagit ROCTAVIAN® kommer du att gå på regelbundna kontroller och blodprovstagningar för att kontrollera din levers hälsa. Vid bedömningen av om du kan ta ROCTAVIAN®, utvärderar läkaren också om du kan ta kortikosteroider under en längre tid. Efter detta kan läkaren råda dig att undvika eller senarelägga behandlingen med ROCTAVIAN®.

Efter att du har tagit ROCTAVIAN®:

Efter att du har tagit ROCTAVIAN® kontrolleras din leverhälsa och FVIII-aktivitet regelbundet, så det är viktigt att du samarbetar med läkaren så att alla nödvändiga blodprover kan tas.

Om leverenzymet ökar, kan läkaren föreslå att du börjar behandlas med kortikosterioder under 2 månader. Behandlingen kan pågå längre beroende på hur du svarar på den. Det är viktigt att du diskuterar biverkningar av kortikosteroider och vad man kan göra för att förebygga eller hantera dem. Det är viktigt att du följer läkarens doseringsschema och inte slutar ta kortikosteroider utan att tala med läkaren först. Läkaren kan även ge dig ett annat läkemedel för att hantera ökningen av leverenzymen om kortikosteroider inte kan ges.

Det är viktigt att du talar med läkaren innan du ändrar eller börjar med några nya läkemedel eller tillskott. Läkemedel som isotretinoin (används ofta för att behandla akne) rekommenderas inte. Du ska undvika alkohol i minst ett år och tala med läkaren om hur mycket alkohol som accepteras därefter.

Donationer av blod och kroppsvätskor, samt donationer för transplantation

Komponenter i läkemedlet ROCTAVIAN® kan dyka upp i kroppsvätskor som sperma, urin, saliv, avföring och blod. Dessa ska försvinna från kroppsvätskorna efter en tid, men hur lång den tiden är skiljer sig från person till person.

- Donera inte blod, organ, vävnader och celler för transplantation efter att du har tagit ROCTAVIAN®