

Naispuolisen kumppanisi on vältettävä tai lykättävä raskaaksi tulemista kuuden kuukauden ajan käyttämällä tehokasta ehkäisyä.

- Keskustele lääkärin kanssa tehokkaista ehkäisymenetelmistä.
- Kerro lääkärille, jos kumppanisi tulee raskaaksi.
- Älä luovuta siemennestettä kuuden kuukauden kuluessa ROCTAVIAN®-hoidon jälkeen.

Verihyytymät

ROCTAVIAN® voi nostaa tekijän VIII pitoisuuksia tavallista suuremmiksi joksikin aikaa. Tavallista korkeammat pitoisuudet voivat lisätä tahattoman verihyytymän riskiä.

Ennen kuin otat ROCTAVIAN®-valmistetta:

Lääkäri keskustelee kanssasi mahdollisista verihyytymien tai sydän- ja verisuonitautien riskitekijöistä, jotka voisivat vaikuttaa mahdollisuuteesi saada ROCTAVIAN®-hoitoa.

ROCTAVIAN®-valmisteen saamisen jälkeen:

Lääkäri seuraa tekijän VIII pitoisuuksia veressäsi ja kertoo sinulle, jos tarvitset hoitoa tavallista korkeampien pitoisuuksien takia omien riskitekijöidesi perusteella.

Kerro lääkärille välittömästi, jos sinulle tulee verihyytymään viittaavia merkkejä tai oireita, kuten mm. aivohalvauksen merkkejä (esim. voimattomuus, puhevaikeudet, roikkuva suupieli) tai sydänkohtauksen merkkejä (kuten rintakipu, leukakipu, hengenahdistus, kylmä hiki, heikotus, alaraajaturvotus) ja hakeudu viipymättä lääkärinhoitoon.

Tekijän VIII estäjät

Sinulle tehdään verikokeita, jotta voidaan seurata mahdollisten tekijän VIII estäjien (neutraloivien vasta-aineiden) kehittymistä.

ROCTAVIAN®-hoitoon mahdollisesti liittyvä pahanlaatuisten kasvainten riski

ROCTAVIAN® voi liittää itsensä maksasolujen DNA:han, ja on mahdollista, että se liittää itsensä myös elimistön muiden solujen DNA:han. Siksi ROCTAVIAN®-hoitoon saattaa liittyä syövän riski. Kliinisistä tutkimuksista ei ole toistaiseksi saatu tätä tukevaa näyttöä, mutta ROCTAVIAN®-valmisteen luonteen takia tämä mahdollisuus on silti olemassa. Jos sinulle kehittyy syöpä, lääkäri saattaa ottaa näytteen jatkotutkimuksia varten.

Pitkäaikaiset vaikutukset

Pitkän aikavälin seurantatutkimuksen (rekisteri) avulla seurataan ROCTAVIAN®-hoitoa saaneita potilaita. Lääkäri kertoo sinulle / keskustelee kanssasi siitä, miten voit kirjautua rekisteriin, jonka avulla kerätään lisätietoa ROCTAVIAN®-valmisteen pitkäaikaisvaikutuksista.

HAITTAVAIKUTUKSISTA ILMOITTAMINEN

Ilmoita mahdollisista haittavaikutuksista suoraan BioMarinille sähköpostitse: drugsafety@bmrn.com; puhelimitse: +1-415-506-6179 tai faksilla: +1-415-532-3144.

Kun ilmoitat mahdollisista haittavaikutuksista, kerro myös lääkevalmisteen eränumero, joka löytyy Potilaskortista.

Haittavaikutuksista ilmoittaminen

Jos havaitset haittavaikutuksia, kerro niistä lääkärille tai apteekkihenkilökunnalle. Tämä koskee myös sellaisia mahdollisia haittavaikutuksia, joita ei ole mainittu tässä pakkausselosteessa. Voit ilmoittaa haittavaikutuksista myös suoraan (ks. yhteystiedot alla). Ilmoittamalla haittavaikutuksista voit auttaa saamaan enemmän tietoa tämän lääkevalmisteen turvallisuudesta.

www-sivusto: www.fimea.fi

Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea

Läkkeiden haittavaikutusrekisteri

PL 55

00034 FIMEA

Lisätietoja saa lähettämällä sähköpostia osoitteeseen info_nordic@bmrn.com

Kun ilmoitat mahdollisista haittavaikutuksista, kerro myös lääkevalmisteen eränumero, joka löytyy Potilaskortista.

POTILASOPAS – ROCTAVIAN® ▼ (valoktokogeeniroksaparvovekki)

Tämä potilasopas on pakollinen osa tämän valmisteen myyntilupaa.

Opas on tarkoitettu riskienminimoinnin lisätoimenpiteenä varmistamaan, että potilaat ovat tietoisia ROCTAVIAN®-hoitoon liittyvistä erityispiirteistä ja siten minimoivat tiettyjen haittavaikutusten riskiä.

▼ Tähän lääkevalmisteeseen kohdistuu lisäseuranta. Tällä tavalla voidaan havaita nopeasti turvallisuutta koskevaa uutta tietoa. Ilmoittamalla haittavaikutuksista voit auttaa saamaan uutta tietoa tämän lääkkeen turvallisuudesta.

TIETOA TÄSTÄ POTILASOPPAASTA

Lue koko potilasopas huolellisesti ennen kuin sinulle annetaan tätä lääkettä, sillä oppassa on tärkeitä tietoja. Lääkäri kertoo sinulle ROCTAVIAN®-hoitoon liittyvistä riskeistä, hyödyistä ja epävarmuustekijöistä ja keskustelee niistä kanssasi ennen hoitopäätöksen tekemistä.

Keskustele seuraavista asioista lääkärin kanssa, kun sinulle harkitaan ROCTAVIAN®-hoitoa:

- Kaikki potilaat eivät välttämättä hyödy ROCTAVIAN®-hoidosta, ja syitä tähän ei ole vielä varmistettu. Myös potilaat, jotka eivät saavuta hoitovastetta, altistuvat pitkäaikaisille riskeille.

- ROCTAVIAN®-hoidon rinnalle vaaditaan useimmiten samanaikaista kortikosteroidihoitoa mahdollisten lääkkeen aiheuttamien maksavaurioiden hoitamiseksi. Lääkäri varmistaa, että pääset säännöllisesti verikokeisiin ROCTAVIAN®-hoitovasteen ja maksan terveyden arviointia varten. On tärkeää kertoa terveydenhuollon ammattilaiselle, jos käytät parhaillaan kortikosteroideja tai muita immuunivastetta vähentäviä lääkkeitä. Jos et voi käyttää kortikosteroideja, lääkäri saattaa suositella sinulle muita lääkkeitä maksaongelmien hallitsemiseksi.

- ROCTAVIAN®-valmiste sisältää virusvektoriosan, johon saattaa liittyä pahanlaatuisten kasvainten suurentunut riski.

- Noudata lääkäriltä saamiasi ohjeita haittavaikutusten seuraamiseksi ja minimoimiseksi.

- Sinulle tehdään tarvittavat, lääkärisi suosittelemat kokeet sen varmistamiseksi, että sovellut saamaan hoitoa.

- Sinua pyydetään kirjautumaan rekisteriin, johon kerätään tietoa ROCTAVIAN®-valmisteen pitkäaikaisista vaikutuksista 15 vuoden ajan.

Säilytä tämä opas, jotta voit palata siihen tarvittaessa myöhemmin. Jos sinulle tulee mitä tahansa haittavaikutuksia, kerro niistä lääkärille tai sairaanhoitajalle. Tämä koskee myös sellaisia mahdollisia haittavaikutuksia, joita ei ole lueteltu Potilasoppaassa. Katso tämän oppaan lopusta, miten voit ilmoittaa haittavaikutuksista.

Kun sinulle annetaan ROCTAVIAN®-valmistetta, saat Potilaskortin. Pidä Potilaskorttia aina mukanas, sillä se sisältää terveydenhuollon ammattilaisille tarkoitettuja tietoja saamastasi ROCTAVIAN®-hoidosta.

YLEISTIETOA ROCTAVIAN®-VALMISTEESTA

Elimistö koostuu lukemattomista soluista, ja jokainen solu sisältää rakennusohjeet, joita kutsutaan geeneiksi. Geenit auttavat soluja valmistamaan eri valkuaisaineita, joita elimistö tarvitsee toimiakseen kunnolla. Joskus ohje (geeni) voi puuttua tai siinä voi olla virhe. Tästä seuraa ongelmia kyseisen valkuaisaineen tuotannossa tai toiminnassa. Hemofilia A aiheutuu, kun veren hyytymiseen tarvittavaa proteiinia, tekijää VIII, ei valmistu geenin puuttuessa tai sen toimissa virheellisesti. Geeniterapia on prosessi, jossa virheellinen geeni korvataan terveellä.

ROCTAVIAN® on oikean geenin sisältävä geeniterapiavalmiste, joka auttaa elimistöäsi tuottamaan itse verenvuotoa ehkäisevää ja verenvuotoja vähentävää tekijää VIII.

Jotta geeni voidaan ohjata tekijää VIII tuottaviin maksasoluihin, se pakataan virukseen (jota kutsutaan vektoriksi). Tässä tutkimuksessa käytetään adenoassosioidun viruksen serotyypin 5 (AAV5) vektoria. Se on pieni virus, jonka ei tiedetä aiheuttavan sairauksia. Tätä lääkettä käytetään vaikean hemofolia A:n hoitoon aikuisille, joilla ei ole aiemmin ollut tekijän VIII estäjiä tai havaittavia vasta-aineita adenoassosioidun viruksen serotyypille 5.

ROCTAVIAN®-HOITO

ROCTAVIAN®-infuusio

ROCTAVIAN® annetaan tiputuksena (laskimoinfuusiona) suoneen. Infuusion antaminen voi kestää useita tunteja.

ROCTAVIAN®-infuusion aikana tai välittömästi sen jälkeen voi esiintyä joitakin haittavaikutuksia. Kerro lääkärille tai sairaanhoitajalle välittömästi, jos sinulla esiintyy mitä tahansa seuraavia oireita:

- ihottuma (nokkosihottuma tai muunlaiset ihottumat), kutina
- hengitysvaikeudet, aivastelu, yskä, nenän vuotaminen, silmien vetistäminen, kutiava kurkku
- pahoinvointi, ripuli
- korkea tai matala verenpaine, nopea syke, huimaus (lähes pyörtyminen)
- lihaskipu, selkäkipu
- kuume, vilunväristykset, värinä.

Maksan terveys

ROCTAVIAN® vaikuttaa kuljettamalla maksaan toimivan geenin, joka saa maksasolut valmistamaan tekijää VIII. Lääkäri neuvoo, miten voit parantaa maksasi terveyttä.

Ennen kuin otat ROCTAVIAN®-valmistetta:

Et voi saada ROCTAVIAN®-hoitoa, jos sinulla on edennyt krooninen maksasairaus tai jos sinulla on ollut maksasyöpä. Lääkäri ei suosittele ROCTAVIAN®-hoitoa, jos sinulla on maksasairaus, joka estää ROCTAVIAN®-valmistetta toimimasta hyvin. Siksi lääkäri saattaa tehdä sinulle kokeita, joiden avulla voidaan varmistaa, että hoidon aloittaminen on sinulle turvallista.

Maksasi terveys, yleinen terveydentilasi sekä kaikki uudet ja pitkäaikaisessa käytössä olevat lääkityksesi arvioidaan, jotta voidaan määrittää, sopiiko ROCTAVIAN®-hoito sinulle.

Kliinisissä tutkimuksissa useilla potilailla havaittiin maksaentsyymien lievää tai kohtalaista nousua ROCTAVIAN®-hoidon yhteydessä. Maksaentsyymien nousu saattaa vaikuttaa tekijän VIII tuotantoon ja vaatia kortikosteroidihoitoa. Huomioi, että sinulle tehdään ROCTAVIAN®-hoidon jälkeen säännöllisiä tarkastuksia ja verikokeita maksasi terveydentilan seuraamiseksi. Lääkäri arvioi myös, voitko ottaa kortikosteroideja pitkäaikaisesti, kun hän arvioi soveltuvuuttasi ROCTAVIAN®-hoitoon. Tulosten perusteella lääkäri saattaa suositella, että sinulle ei anneta ROCTAVIAN®-hoitoa tai että hoitoa lykätään.

ROCTAVIAN®

-valmisteen saamisen jälkeen:

Kun olet saanut ROCTAVIAN®-valmistetta, maksasi terveyttä ja tekijän VIII aktiviteettia seurataan säännöllisesti. On tärkeää, että kaikki tarvittavat verikokeet voidaan tehdä.

Jos maksaentsyymisi nousevat, lääkäri voi ehdottaa kortikosteroidihoitoa ensin kahden kuukauden ajaksi. Vasteestasi riippuen hoitoa saatetaan jatkaa tämän jälkeen. On tärkeää keskustella lääkärin kanssa kortikosteroidien haittavaikutuksista ja siitä, miten niitä voidaan ehkäistä ja hallita. On tärkeää, että noudatat lääkärin antamaa annosteluohjetta ja ettet lopeta kortikosteroidien ottamista keskustelematta asiasta lääkärin kanssa. Lääkäri voi myös antaa sinulle toista lääkettä kohonneiden maksaentsyymien hallintaan, jos et voi ottaa kortikosteroideja.

On tärkeää keskustella lääkärin kanssa ennen kuin aloitat minkä tahansa uuden lääkkeen tai lisäravinteen käytön. Tiettyjä lääkkeitä, kuten isotretioniinia (jota käytetään aknen hoitoon), ei suositella. Sinun on vältettävä alkoholinkäyttöä vähintään yhden vuoden ajan. Keskustele lääkärin kanssa siitä, kuinka paljon alkoholia voit käyttää ensimmäisen vuoden jälkeen.

Veren ja muiden ruumiinnesteiden sekä elinten siirreluovutus

ROCTAVIAN®-valmisteen sisältämiä ainesosia voi näkyä siemennesteessä, virtsassa, syljessä, ulosteissa ja veressä. Ne poistuvat ruumiinnesteistä ajan myötä, mutta poistumiseen kuluva aika vaihtelee ihmisten välillä.

- Älä luovuta verta, elimiä, kudoksia tai soluja siirrettäväksi ROCTAVIAN®-hoidon jälkeen.