

Guide för patient/vårdare

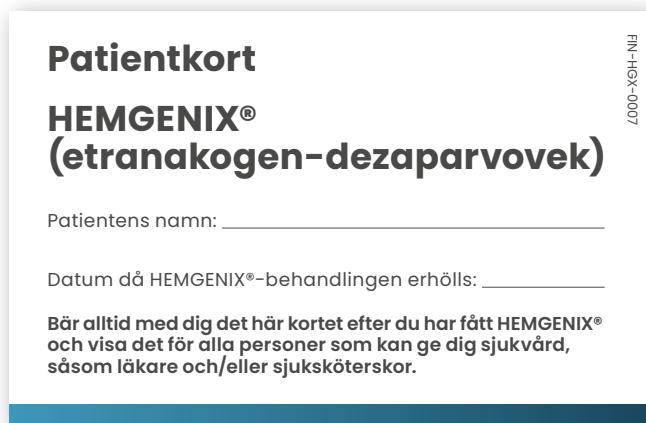
HEMGENIX® (etranakogen–dezaparvovek)

▼ Detta läkemedel är föremål för utökad övervakning. Detta kommer att göra det möjligt att snabbt identifiera ny säkerhetsinformation. Du kan hjälpa till genom att rapportera de biverkningar du eventuellt får.

Denna guide är en obligatorisk del i godkännandet av Hemgenix och är överenskommen med Fimea.

Läs noga igenom denna guide för patient/vårdare innan du får HEMGENIX®. Den innehåller information som är viktig för dig.

Förutom denna guide för patient/vårdare, kommer din läkare att ge dig ett patientkort. Läs det noggrant och följ de angivna instruktionerna.



Ha alltid patientkortet med dig och visa det vid all kontakt med sjukvården: kortet innehåller viktig information som hälso- och sjukvårdspersonalen behöver veta innan de tar hand om dig. Det är viktigt för din säkerhet i samband med uppföljningen av detta läkemedel.

Vad kan du hitta i denna guide för patient/vårdare?

| | |
|---|-----------|
| 1. Vad HEMGENIX® är och vad det används för? | 4 |
| 2. Hur fungerar HEMGENIX®? | 4 |
| 3. Vad du behöver veta innan du får HEMGENIX® | 4 |
| a. Leverstatus | 5 |
| b. Onormal blodlevring (tromboemboliska händelser) | 6 |
| c. Risk för malignitet som kan ha samband med HEMGENIX® | 7 |
| d. Överföring av HEMGENIX® | 7 |
| e. Utveckling av inhibitorer mot faktor IX | 8 |
| f. Befintlig immunitet mot vektorn | 8 |
| g. Behandlingssvar | 8 |
| 4. Långtidsuppföljning efter administrering av HEMGENIX® | 9 |
| 5. Vad används patientkortet till? | 10 |
| 6. Vad ska jag göra om jag misstänker en biverkning? | 11 |
| 7. Ytterligare information | 11 |

1. Vad HEMGENIX® är och vad det används för?

HEMGENIX® är ett genterapi-läkemedel som innehåller den aktiva substansen etranakogen-dezaparvovek.

Personer med hemofili B är födda med en förändring i den gen som behövs för att bilda faktor IX, ett protein som är nödvändigt för att blodet ska levra sig och stoppa eventuella blödningar. Personer med hemofili B har otillräckliga nivåer av faktor IX och har därför en benägenhet för inre eller yttre blödningar.

HEMGENIX® används för behandling av svår till medelsvår hemofili B (medfödd faktor IX-brist) hos vuxna som inte har eller har haft antikroppar mot faktor IX-proteinet, så kallade faktor IX-inhibitorer.

2. Hur fungerar HEMGENIX®?

Den aktiva substansen i HEMGENIX® är baserad på ett virus som inte orsakar sjukdom hos människa. Viruset har ändrats så att det inte kan spridas i kroppen, men det kan leverera en kopia av faktor IX-genen till levercellerna. Detta gör det möjligt för levercellerna att framställa faktor IX-protein och höja nivåerna av fungerande faktor IX i blodet. Detta hjälper i sin tur blodet att levra sig mer normalt och förhindrar blödningar och minskar antalet blödningstillfällen.

3. Vad du behöver veta innan du får HEMGENIX®

Det är viktigt att du till fullo förstår fördelar och risker med HEMGENIX®-behandling, vad som är känt och ännu ej känt om långtidseffekter avseende både säkerhet och effekt. Viktig information om HEMGENIX®-behandling finns i avsnitten nedan. Läs det noga och fråga din läkare eller sjuksköterska om du har ytterligare frågor.

a. Leverstatus

INNAN HEMGENIX®-BEHANDLING

För att avgöra om detta läkemedel är lämpligt för dig, kommer läkaren att undersöka din lever före eventuell behandling med HEMGENIX®, och kommer att utföra:

- Blodprover för att kontrollera nivån av leverenzymmer i ditt blod.
- Ultraljud av levern
- Elastografi-test för att undersöka ärrbildning eller förtjockning av din lever.

EFTER HEMGENIX®-BEHANDLING

Efter behandling med HEMGENIX® kommer läkaren att fortsätta kontrollera din hälsa. Det är **viktigt** att **du diskuterar tidplan för blodprover** med läkaren, så att nödvändiga prover kan utföras enligt behov.

Ditt immunsystem kommer att reagera på HEMGENIX®, vilket kan leda till ökade nivåer av vissa leverenzymmer i blodet som kallas transaminaser (transaminiter). **Läkaren kommer att undersöka dina leverenzymmer regelbundet** för att säkerställa att läkemedlet fungerar som det ska:

Under de första 3 månaderna:
Minst en gång per vecka

Från månad 4 upp till ett år:
Var 3:e månad

Andra året:
Var 6:e månad

Efter andra året:
En gång om året i minst 5 år

- **Om du har ökade nivåer av leverenzymmer kan du behöva lämna blodprov oftare, tills leverenzymerna återgått till normala nivåer.**
- **Du kan också behöva ta annat läkemedel (t.ex. kortikosteroid) för att behandla dessa biverkningar.**
- **Informera hälso- och sjukvårdspersonal om pågående användning av kortikosteroider eller andra immunosupprimerande läkemedel. Om du inte kan ta kortikosteroider kan läkaren rekommendera andra alternativa läkemedel för att hantera problem med levern.**
- Din läkare kan också utföra ytterligare tester för att utesluta andra orsaker till förhöjda leverenzymmer, och vid behov överlägga med en läkare som har erfarenhet av leversjukdomar.

Både före och efter behandlingen rekommenderas att du **undviker att ta läkemedel som kan orsaka leverskador. Tala om för läkare eller sjuksköterska om du tar, nyligen har tagit eller kan tänkas ta andra läkemedel.** Om du tar läkemedel med känd skadlig effekt på levern (hepatotoxisk behandling), ska läkaren avgöra om du behöver avsluta den behandlingen för att kunna få behandling med HEMGENIX®.

b. Onormal blodlevring (tromboemboliska händelser)

Som patient med hemofili B har du vanligtvis en mindre risk för tromboemboliska händelser (t.ex. pulmonell tromboembolism eller djup ventrombos), beroende på den medfödda bristen i koagulationskaskaden.

Återställande av faktor IX-aktiviteten kan utsätta dig för potentiell risk för tromboembolism, såsom observerats i den allmänna, icke-hemofila befolkningen.

Om du har existerande riskfaktorer för tromboemboliska händelser såsom anamnes på kardiovaskulär eller kardiometabolisk sjukdom, arterioskleros, hypertoni, diabetes och hög ålder, kan den potentiella risken för tromboemboliska händelser vara högre.

Var uppmärksam på tecken på onormal blodlevring:

Tecken på onormal blodlevring kan vara:

Plötslig bröstsmärta, andnöd, plötsligt uppkommen muskelsvaghet, förlust av känsel och/eller balansproblem, minskad medvetandegrad, talsvårigheter eller svullnad i ett eller båda benen.



Om du observerar tecken på onormal blodlevring:

Kontakta omedelbart läkare

c. Risk för malignitet som kan ha samband med HEMGENIX®

HEMGENIX® kommer att tränga in i leverceller och kan eventuellt tränga in i levercellernas DNA eller DNA i andra celler i kroppen. Till följd av detta skulle HEMGENIX® kunna bidra till risk för cancer, såsom levercancer (hepatocellulärt karcinom). Även om det inte finns några belägg för detta i de kliniska studier som utförts hittills, kvarstår en möjlig risk på grund av detta läkemedels egenskaper. Du bör därför diskutera detta med läkare.

• Om du är en patient som har vissa riskfaktorer för hepatocellulärt karcinom kommer din läkare att **regelbundet (exempelvis årligen) övervaka din långsiktiga leverhälsa i minst 5 år efter att du fått HEMGENIX®.** Följande tester kommer att utföras:

- Årligt ultraljud av levern
- Årliga blodprover för att se om det skett en ökning av så kallat alfa-fetoprotein

Vissa riskfaktorer för hepatocellulärt karcinom är:

- leverfibros (ärrbildning och förtjockning av levern)
- anamnes på hepatit B, hepatit C
- fettlever (inte alkoholberoende)
- om du dricker mycket alkohol

• Vid eventuell cancer kommer läkaren att ta ett prov på din cancer (biopsi) för att se om HEMGENIX® finns i cellernas DNA.

d. Överföring av HEMGENIX®

Den aktiva substansen i HEMGENIX® kan tillfälligt utsöndras i blod, sperma, bröstmjölk eller annat "kroppsavfall", en process som kallas utsöndring.

För att säkerställa att personer som inte har hemofili B inte utsätts för DNA från HEMGENIX® via utsöndringsprocessen i din kropp och/eller sperma **får du inte donera blod, sperma, organ, vävnad eller celler för transplantation efter att du behandlats med HEMGENIX®.**

Efter att en manlig patient har behandlats med HEMGENIX®, **ska** patienten och en kvinnlig partner i fertil ålder **undvika graviditet i 12 månader. Effektiva preventivmedel** ska användas (t.ex. en preventivmetod med barriärfunktion som kondom eller pessar) för att undvika den teoretiska risken att faktor IX-genen från faderns HEMGENIX®-behandling överförs till barnet med okända konsekvenser. Av samma anledning får manliga patienter inte donera sperma. **Tala med läkare om vilken preventivmetod som är mest lämplig för dig.**

HEMGENIX® rekommenderas inte till kvinnor som är gravida eller kan bli gravida.

e. Utveckling av inhibitorer mot faktor IX

Neutraliserande antikroppar mot faktor IX-proteiner, så kallade faktor IX-inhibitorer, kan hindra HEMGENIX® från att fungera som det ska.

Läkaren kommer att kontrollera ditt blod med avseende på dessa antikroppar, om dina blödningar inte är under kontroll eller om de återkommer efter att du har behandlats med HEMGENIX®.

f. Befintlig immunitet mot vektorn

Vissa människor kan ha befintlig naturlig "immunitet" (dvs antikroppar) mot adenoassocierade virus (AAV)-vektorer som används för genterapi – detta kan hindra effektiv överföring av den genetiska informationen.

Hög nivå av befintlig immunitet mot vektorn kan reducera effekten av behandling med HEMGENIX®.

Därför **förväntas du undersökas med avseende på halt av neutraliserande anti-AAV5-antikroppar före HEMGENIX®-behandling.**

g. Behandlingsvar

Det finns en risk att inte alla patienter svarar på behandling med HEMGENIX®.

Patienter som inte svarar utsätts ändå för långsiktiga risker.

Det finns inga planer på att administrera HEMGENIX® igen om du inte svarar på behandlingen eller om svaret avtar.

4. Långtidsuppföljning efter administrering av HEMGENIX®

Långtidseffekt och -säkerhet för HEMGENIX® är fortfarande okänd.

Efter behandling med HEMGENIX® **förväntas du därför delta i en uppföljningsstudie för att studera långsiktiga säkerhetseffekter för denna behandling i 15 år, hur väl behandlingen fortsatt fungerar och om det förekommer biverkningar som kan ha att göra med behandlingen.**

Du uppmanas att tala med din läkare för ytterligare information om uppföljningsstudien före behandling med HEMGENIX®.

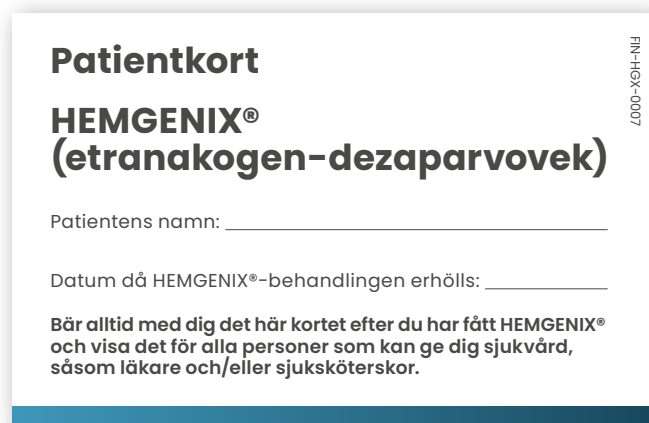
5. Vad används patientkortet till?

Patientkortet innehåller viktig säkerhetsinformation som du och eventuell hälso- och sjukvårdspersonal kan behöva känna till **efter behandling med HEMGENIX®**.

Som förklaras i denna guide måste vissa rekommendationer följas för säker användning av HEMGENIX® och det är därför viktigt att dela denna information med all hälso- och sjukvårdspersonal som du kan behöva konsultera. Detta är patientkortets roll.

- Din läkare ska ge dig ett HEMGENIX® patientkort den dag du får HEMGENIX®
- Bär det med dig hela tiden, du kan ha det i din plånbok eller handväska
- Visa patientkortet för en läkare eller sjuksköterska i samband med sjukvårdsbesök
- Om du behöver åka till en akutmottagning, visa den så snart du anländer
- Berätta för din vårdgivare eller någon nära dig om din behandling och visa dem patientkortet eftersom de kan märka biverkningar som du inte är medveten om

Detta kort påminner dig också om viktig information du behöver veta om betydande risker som kan uppstå.



6. Vad ska jag göra om jag misstänker en biverkning?

Om du får biverkningar, tala med läkare eller sjuksköterska. Detta gäller även eventuella biverkningar som inte nämns i denna guide för patient/vårdare. Du kan också rapportera biverkningar direkt till:

www.fimea.fi

Säkerhets- och utvecklingscentret för läkemedelsområdet Fimea
Biverkningsregistret
PB 55
00034 FIMEA

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

7. Ytterligare information

Denna guide och andra dokument framtagna som en del i HEMGENIX® riskhanteringsplan kan laddas ned via CSL Behring Finlands hemsida: <https://www.cslbehring.fi/valmisteemme/hemgenix/koulutusmateriaali>

För ytterligare information se HEMGENIX® Bipacksedel som finns tillgänglig via Europeiska läkemedelsmyndighetens webbplats (<https://www.ema.europa.eu>)

