

Opas potilaalle / potilasta hoitava- valle henkilölle

HEMGENIX® (etranakogeenidetsaparvovekki)

▼ Tähän lääkevalmisteeseen kohdistuu lisäseuranta. Tällä tavalla voidaan havaita nopeasti turvallisuutta koskevaa uutta tietoa. Voit auttaa ilmoittamalla kaikista mahdollisesti saamistasi haittavaikutuksista.

Tämä opas on pakollinen osa Hemgenix-valmisteelle myönnettyä myyntilupaa ja siitä on sovittu kansallisen viranomaisen kanssa.

Lue tämä opas potilaalle / potilasta hoitavalle henkilölle ennen kuin saat HEMGENIX®-hoidon, sillä opas sisältää sinulle tärkeitä tietoja.

Lääkäri antaa oppaan potilaalle / potilasta hoitavalle henkilölle ja sen lisäksi myös potilaskortin. Lue potilaskortti huolellisesti ja noudata siinä olevia ohjeita.

Potilaskortti

HEMGENIX®
(etranakogeenidetsaparvovekki)

Potilaan nimi: _____

HEMGENIX®-valmisteen antopäivämäärä: _____

Pidä tämä kortti HEMGENIX®-hoidon jälkeen aina mukanas ja näytä sitä kaikille hoitoosi osallistuville henkilöille, kuten lääkäreille ja/tai sairaanhoitajille.

FIN-HGX-0004

Pidä potilaskortti aina mukanas ja näytä sitä aina lääkärille tai muulle terveydenhuollon ammattilaiselle, jonka vastaanotolla käyt. Potilaskortissa on tärkeitä turvallisuuttasi koskevia tietoja, jotka liittyvät tämän lääkkeen seurantaan ja joista näiden henkilöiden on tarpeen tietää ennen kuin he hoitavat sinua.

Mitä tämä opas potilaalle / potilasta hoitavalle henkilölle sisältää?

1. Mitä HEMGENIX® on ja mihin sitä käytetään?	4
2. Miten HEMGENIX® toimii?	4
3. Mitä sinun on tiedettävä, ennen kuin sinulle annetaan HEMGENIX®-valmistetta	4
a. Maksan kunto	5
b. Veren hyytymisen poikkeavuudet (tromboemboliset tapahtumat)	6
c. HEMGENIX®-valmisteseen mahdollisesti liittyvä syöpäriski	7
d. HEMGENIX®-valmisteen siirtyminen	7
e. Hyytymistekijä IX:n vasta-aineiden kehittyminen	8
f. Aiemmin kehittynyt immunitteetti vektoria vastaan	8
g. Hoitovaste	8
4. Pitkäaikaisseuranta HEMGENIX®-valmisteen annon jälkeen	9
5. Mikä potilaskortin tarkoitus on?	10
6. Miten toimin, jos epäilen haittavaikutusta?	11
7. Lisätietoja	11

1. Mitä HEMGENIX® on ja mihin sitä käytetään?

HEMGENIX® on geenihoitovalmiste, jonka sisältämä vaikuttava aine on etranakogeenidetsaparvovekki.

B-hemofiliaa sairastavilla potilailla on synnynnäisesti muutos geenissä, jota tarvitaan veren hyytymisen ja verenvuotojen tyrehtymisen kannalta välttämättömän valkuaisaineen eli hyytymistekijä IX:n tuottamiseen. B-hemofiliaa sairastavilla potilailla hyytymistekijä IX:n pitoisuus on riittämätön, joten he ovat alttiita saamaan sisäisiä ja ulkoisia verenvuotoepisodeja.

HEMGENIX®-valmistetta käytetään vaikea-asteisen ja kohtalaisen vaikea-asteisen B-hemofilian (synnynnäinen hyytymistekijä IX:n puutos) hoitoon aikuisille, joilla ei parhaillaan ole eikä ole aiemmin ollut vasta-aineita hyytymistekijä IX valkuaisainetta vastaan (neutraloivia vasta-aineita).

2. Miten HEMGENIX® toimii?

HEMGENIX®-valmisteen vaikuttava aine perustuu virukseen, joka ei aiheuta ihmisille sairautta. Tällaista virusta on muokattu siten, että se ei pysty leviämään elimistössä, mutta sen avulla voidaan kuljettaa kopio hyytymistekijä IX geenistä maksasoluihin. Näin maksa voi tuottaa hyytymistekijä IX valkuaisainetta, ja toimivan hyytymistekijä IX:n pitoisuus veressä suurenee. Siten veri hyytyy normaalisti ja verenvuotoepiudit estyvät tai vähenevät.

3. Mitä sinun on tiedettävä, ennen kuin sinulle annetaan HEMGENIX®-valmistetta

Sinun on tärkeää olla tietoinen HEMGENIX®-hoidon hyödyistä ja riskeistä sekä siitä, mitä tiedetään ja mitä ei vielä tiedetä hoidon turvallisuuteen ja tehoon liittyvistä pitkäaikaisista vaikutuksista. Seuraavissa kohdissa on tärkeitä tietoja HEMGENIX®-hoidosta. Lue ne huolellisesti ja käänny lääkärin tai sairaanhoitajan puoleen, jos sinulla on lisäkysymyksiä.

a. Maksan kunto

ENNEN HEMGENIX®-HOITOA

Lääkäri tarkistaa ennen HEMGENIX®-hoidon aloittamista maksasi kunnan selvittääkseen, sopiiko tämä lääke sinulle, ja

- määrää verikokeita tarkistaakseen veren maksaentsyymien pitoisuuden
- tekee maksan ultraäänitutkimuksen
- tekee elastografiatutkimuksen tarkistaakseen, onko maksassa arpeutumista tai paksuuntumista.

HEMGENIX®-HOIDON JÄLKEEN

Lääkäri jatkaa terveytesi seurantaan HEMGENIX®-hoidon jälkeen. On **tärkeää kertoa** lääkärille näiden **verikokeiden ajankohdista**, jotta lääkäri tietää, että ne voidaan tehdä siten kuin on tarpeellista.

HEMGENIX® laukaisee immuunijärjestelmässä vasteen, joka voi johtaa tiettyjen maksaentsyymien eli transaminaasien pitoisuuksien suurenemiseen veressä (hypertransaminasemia). **Lääkäri seuraa maksaentsyymien pitoisuuksia säännöllisesti** varmistaakseen, että lääke toimii siten kuin sen on tarkoitus:

Ensimmäiset 3 kuukautta: vähintään kerran viikossa	4. kuukaudesta alkaen yhteen vuoteen saakka: 3 kuukauden välein	Toisena vuotena: puolivuositain	Toisen vuoden jälkeen: vuosittain vähintään 5 vuoteen saakka
---	--	---------------------------------------	---

- **Jos maksaentsyymien pitoisuus suurenee, verikokeita voidaan ottaa tiheämmin maksaentsyymien pitoisuuksien tarkistamiseksi, kunnes ne normalisoituvat.**
- **Voit myös tarvita jotakin toista lääkettä (esim. kortikosteroideja) näiden haitta-vaikutusten hoitoon.**
- **Kerro terveydenhuollon ammattilaiselle, jos parhaillaan käytät kortikosteroideja tai muita immunosuppressiivisia lääkkeitä. Jos et voi käyttää kortikosteroideja, lääkäri voi suositella maksaongelmien hoitoon vaihtoehtoisia lääkkeitä.**
- Lääkäri voi tarvittaessa myös ottaa lisäkokeita sulkeakseen pois muut syyt maksaentsyymien pitoisuuden suurenemiseen konsultoituaan maksasairauksiin perehtynyttä lääkärinä.

On suositeltavaa, että sekä ennen hoitoa että hoidon jälkeen **vältät lääkkeitä, joista voi aiheutua maksavaurio. Kerro lääkärille tai sairaanhoitajalle, jos parhaillaan otat, olet äskettäin ottanut tai saatat ottaa muita lääkkeitä.** Jos käytät lääkkeitä, joiden tiedetään vaurioittavan maksaa (maksatoksisia lääkkeitä), lääkäri saattaa päättää, että sellaisen lääkkeen käyttö on tarpeen lopettaa, jotta voit saada HEMGENIX®-hoitoa.

b. Veren hyytymisen poikkeavuudet (tromboemboliset tapahtumat)

B-hemofiliapotilaana sinulla on yleensä tavanomaista pienempi tromboembolisten tapahtumien (esim. keuhkoveritulpan tai syvän laskimotukoksen) mahdollisuus synnynnäisesti puutteellisen hyytymisjärjestelmän vuoksi.

Hyytymistekijä IX:n aktiivisuuden korjaaminen voi altistaa sinut veritulppausten mahdolliselle riskille, kuten hemofiliaa sairastamattomassa keskiväestössä on havaittu.

Jos sinulla on ennestään veritulppaumiin liittyvien tapahtumien riskitekijöitä, kuten aiemmin ollut sydän- ja verisuonisairaus tai sydän- ja aineenvaihduntasairaus, paksuuntuneet ja jäykistyneet valtimot (arterioskleroosi), korkea verenpaine (hypertensio) tai jos olet diabeetikko tai iäkäs, veritulppaumiin liittyvien tapahtumien mahdollinen riski voi olla tavanomaista suurempi.

Tarkkaile veren poikkeavaan hyytymiseen liittyviä merkkejä:

Merkkejä veren poikkeavasta hyytymisestä voivat olla

äkillinen kipu rintakehässä, hengenhäiriö, lihasheikkouden äkillinen ilmaantuminen, tuntoaistin ja/tai tasapainon katoaminen, vireystilan heikentyminen, puhevaikeudet tai toisen tai kummankin säären turpoaminen.



Jos havaitset merkkejä veren poikkeavasta hyytymisestä,

ota välittömästi yhteyttä lääkäriin

c. HEMGENIX®-valmisteeseen mahdollisesti liittyvä syöpäriski

HEMGENIX® siirtyy maksasoluihin ja voi mahdollisesti siirtyä maksasolujen DNA:han tai elimistön muiden solujen DNA:han. Sen vuoksi HEMGENIX® voi osaltaan edistää syöpäriskiä, kuten maksasyövän (hepatosellulaarinen karsinooma) riskiä. Tästä ei toistaiseksi ole havaintoja kliinisissä tutkimuksissa, mutta se on silti mahdollista lääkkeen luonteen vuoksi, sillä se sisältää viruskomponentin. Keskustele sen vuoksi tästä lääkärin kanssa

- Jos sinulla on ennestään hepatosellulaarisen karsinooman riskitekijöitä, lääkäri **seuraa maksasi pitkäaikaista kuntoa säännöllisesti (esim. vuosittain) vähintään 5 vuoden ajan HEMGENIX®-valmisteenannon jälkeen** ja tekee seuraavat tutkimukset:
 - vuosittain maksan ultraäänitutkimus ja
 - vuosittain verikokeet alfafetoproteiinipitoisuuden suurenemisen tarkistamiseksi.

Hepatosellulaarisen karsinooman joitakin riskitekijöitä ovat:

- maksafibroosi (maksan arpeutuminen ja paksuuntuminen)
- aiempi B-hepatiitti tai C-hepatiitti
- rasvamaksa (alkoholiin liittymätön rasvamaksasairaus)
- runsas alkoholin käyttö.

- Syövän ilmaantuessa lääkäri saattaa ottaa syövästä näytteen (koepalan) tarkistaakseen, onko HEMGENIX®-valmiste siirtynyt solun DNA:han.

d. HEMGENIX®-valmisteen siirtyminen

HEMGENIX®-valmisteen vaikuttava aine voi tilapäisesti erittyä veren, siemennesteen, rintamaidon tai kehon kuona-aineiden välityksellä, mitä kutsutaan geenin siirtymiseksi.

Jotta varmistetaan, etteivät B-hemofiliaa sairastamattomat henkilöt altistu elimistöösi ja/tai siemennesteeseen siirtyneelle HEMGENIX®-valmisteen DNA:lle, **et saa luovuttaa HEMGENIX®-hoidon jälkeen verta, siemennestettä, elimiä, kudoksia tai soluja siirtoa varten.**

Kun miespotilas on saanut HEMGENIX®-hoitoa, potilaan ja naiskumppanin **on vältettävä raskautta 12 kuukauden ajan.** Teidän pitää käyttää **tehokasta ehkäisyä** (esim. estemenetelmää, kuten kondomia tai pessaria). Näin estetään teoreettinen riski, että isän HEMGENIX®-hoidon hyytymistekijä IX geeni siirtyy lapseen ja aiheuttaa tuntemattomia seurauksia. Samasta syystä miespotilaat eivät saa luovuttaa siemennestettä. **Kysy lääkäriltä, mitkä ovat sopivia ehkäisymenetelmiä.**

HEMGENIX®-hoitoa ei suositella naisille, jotka ovat raskaana tai voivat tulla raskaaksi.

e. Hyytymistekijä IX:n vasta-aineiden kehittyminen

Hyytymistekijä IX valkuaisaineita neutraloivat vasta-aineet voivat estää HEMGENIX®-valmistetta toimimasta asianmukaisesti.

Lääkäri voi tutkia verestäsi nämä hyytymistekijä IX:n vasta-aineet, jos verenvuodot eivät pysy hallinnassa tai ne uusiutuvat sen jälkeen, kun olet saanut HEMGENIX®-hoitoa.

f. Aiemmin kehittynyt immunitetti vektoria vastaan

Joillakin henkilöillä voi olla ennestään luontainen immunitetti (eli vasta-aineita) geenihoidossa käytettyä adenoassosioitua virusta (AAV) vastaan, mikä voi estää tehokasta geneettisen informaation siirtämistä.

Voimakas ennestään kehittynyt immunitetti vektoria vastaan voi vähentää HEMGENIX®-hoidon tehoa.

Näin ollen **sinulta oletettavasti tutkitaan ennen HEMGENIX®-hoidon aloittamista aikaisemmin kehittyneiden AAV5:tä neutraloivien vasta-aineiden titteri.**

g. Hoitovaste

On mahdollista, että kaikki potilaat eivät hyödy HEMGENIX®-hoidosta.

Potilaat, jotka eivät saa vastetta, ovat silti altistuneet pitkäaikaisille riskeille.

Jos et saa hoitoon vastetta tai jos vaste häviää, HEMGENIX®-hoidon antamista uudelleen ei suunnitella.

4. Pitkäaikaiseuranta HEMGENIX®-valmisteen annon jälkeen

HEMGENIX®-valmisteen pitkäaikaista tehoa ja turvallisuutta ei vielä tunneta.

Sinun oletetaan siksi osallistuvan HEMGENIX®-hoidon jälkeen seurantatutkimukseen, jossa selvitetään hoidon pitkäaikaista turvallisuutta 15 vuoden ajan, hoitovaikutusten säilymistä ja hoitoon mahdollisesti liittyviä haittavaikutuksia.

Pyydä lääkäriltä lisätietoja seurantatutkimuksesta ennen HEMGENIX®-hoitoa.

5. Mikä potilaskortin tarkoitus on?

Potilaskortissa on sinulle ja terveydenhuollon ammattilaisille tärkeitä turvallisuutta koskevia tietoja, joista on oltava tietoinen **HEMGENIX®-hoidon jälkeen.**

Kuten tässä oppaassa on kerrottu, tiettyjä suosituksia on noudatettava, jotta HEMGENIX®-hoito on turvallinen. Siksi on välttämätöntä kertoa

nämä tiedot kaikille terveydenhuollon ammattilaisille, joiden vastaanotolla käyt. Potilaskortin tarkoituksena on välittää tällaiset tiedot.

- Lääkärin pitää antaa HEMGENIX®-potilaskortti sinulle sinä päivänä, jolloin saat HEMGENIX®-hoidon.
- Pidä potilaskortti aina mukanas käsilaukussa tai lompakossa.
- Näytä potilaskorttia aina lääkärille tai sairaanhoitajalle, jonka vastaanotolla käyt.
- Jos joudut menemään päivystykseen, näytä potilaskorttia sinne saapuessasi.
- Kerro hoidostasi sinua hoitavalle henkilölle tai jollekin läheisellesi ja näytä potilaskorttia hänelle, sillä hän saattaa havaita haittavaikutuksia, joista et itse ole tietoinen.

Kortti muistuttaa sinua myös tärkeistä tiedoista, jotka koskevat hoitoon mahdollisesti liittyviä merkittäviä riskejä ja joista sinun on oltava tietoinen.

Potilaskortti

HEMGENIX®
(etranakogeenidetsaparvovekki)

Potilaan nimi: _____

HEMGENIX®-valmisteen antopäivämäärä: _____

Pidä tämä kortti HEMGENIX®-hoidon jälkeen aina mukanas ja näytä sitä kaikille hoitoosi osallistuville henkilöille, kuten lääkäreille ja/tai sairaanhoitajille.

FN-HGX-0004

6. Miten toimin, jos epäilen haittavaikutusta?

Jos havaitset haittavaikutuksia, kerro niistä lääkärille tai sairaanhoitajalle. Tämä koskee myös sellaisia mahdollisia haittavaikutuksia, joita ei ole mainittu tässä oppaassa potilaalle / potilasta hoitavalle henkilölle. Voit ilmoittaa haittavaikutuksista myös suoraan osoitteeseen

www.fimea.fi

Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea

Lääkkeiden haittavaikutusrekisteri

PL 55

00034 FIMEA

Ilmoittamalla haittavaikutuksista voit auttaa saamaan enemmän tietoa tämän lääkevalmisteen turvallisuudesta.

7. Lisätietoja

Tämä opas ja muut osana HEMGENIX®-valmisteen riskienhallintasuunnitelmaa laaditut materiaalit ovat ladattavissa osoitteesta CSL Behring: <https://www.cslbehring.fi/valmisteemme/hemgenix/koulutusmateriaali>

Lisätietoja on HEMGENIX®-valmisteen pakkausselosteessa, joka on saatavissa Euroopan lääkeviraston verkkosivustolla (<https://www.ema.europa.eu>)

Muistiinpanot:

CSL Behring AB, Box 712 SE-182 17 Danderyd, Ruotsi
Puhelinnumero: + 46 (0) 8- 544 966 70
Sähköpostiosoite: info@cslbehring.se

HEMGENIX®-valmisteen riskienhallintamateriaaleihin
kuuluva
Opas potilaalle / potilasta hoitavalle henkilölle

Versio 1.0 - 19.12.2022

Fimean hyväksymä 08/2023

CSL Behring