

Vejledning til patienter/ omsorgspersoner

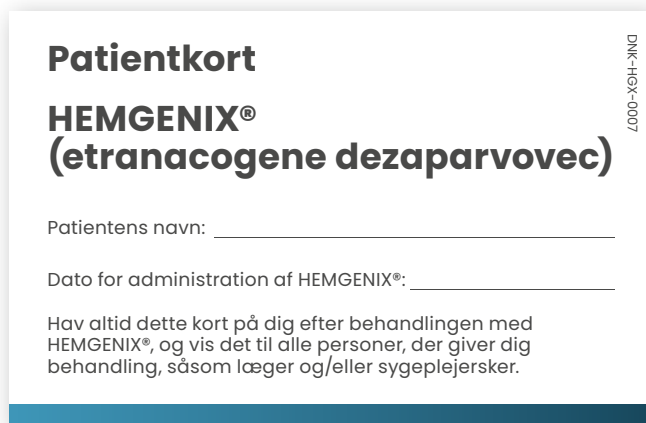
HEMGENIX® (▼ etranacogene dezaparvovec)

▼ Dette lægemiddel er underlagt supplerende overvågning. Dermed kan der hurtigt tilvejebringes nye oplysninger om sikkerheden. Du kan hjælpe ved at indberette alle de bivirkninger, du får.

Denne vejledning er udarbejdet som en obligatorisk del af godkendelsen af Hemgenix og efter aftale med Lægemiddelstyrelsen.

Læs denne vejledning til patienter/omsorgspersoner grundigt, før du får HEMGENIX®, da den indeholder vigtige oplysninger.

Udover denne vejledning til patienter/omsorgspersoner vil lægen give dig et patientkort. Læs kortet grundigt, og følg anvisningerne på det.



Hav altid patientkortet på dig, og vis det til alle læger og andre sundheds-personer, du konsulterer. Kortet indeholder vigtige oplysninger for din sikkerhed i relation til opfølgningen på dette lægemiddel, som du og disse personer skal være bekendte med, før de varetager din behandling/pleje.

Indhold i denne vejledning til patienter/ omsorgspersoner:

1. Hvad er HEMGENIX®, og hvad anvendes det til?	4
2. Hvordan virker HEMGENIX®?	4
3. Det skal du vide, før du begynder at få HEMGENIX®	4
a. Leversundhed	5
b. Abnorm blodstørkning (tromboemboliske hændelser)	6
c. Potentiel risiko for ondartet sygdom i forbindelse med HEMGENIX®	7
d. Overførsel af HEMGENIX®	7
e. Udvikling af faktor IX-inhibitorer	8
f. Præeksisterende immunitet over for vektoren	8
g. Respons på behandlingen	8
4. Langsigtet opfølgning efter administration af HEMGENIX®	9
5. Hvad er formålet med patientkortet?	10
6. Hvad skal jeg gøre i tilfælde af en formodet bivirkning?	11
7. Yderligere information	11

1. Hvad er HEMGENIX®, og hvad anvendes det til?

HEMGENIX® er et lægemiddel til genterapi, som indeholder det aktive stof etranacogene dezaparvovec.

Personer med hæmofili B er født med en mutation i et gen, der er nødvendigt for dannelsen af faktor IX, som er et vigtigt protein, der er nødvendigt for, at blodet kan størkne, og blødninger kan stoppe. Personer med hæmofili B har et utilstrækkeligt niveau af faktor IX og en øget tendens til indre eller ydre blødninger.

HEMGENIX® anvendes til behandling af svær og moderat svær hæmofili B (medfødt faktor IX-mangel) hos voksne, som ikke har eller har haft antistoffer mod faktor IX-proteinet (faktor IX-inhibitorer).

2. Hvordan virker HEMGENIX®?

Det aktive stof i HEMGENIX® er baseret på en virus, som ikke forårsager sygdom hos mennesker. Virussen er blevet modificeret, så den ikke kan sprede sig i kroppen, og så den kan levere en kopi af faktor IX-genet til levercellerne. Derved bliver leveren i stand til at danne faktor IX-proteinet og øge niveauet af virksomt faktor IX i blodet. Dette bidrager til en mere normal blodstørkning og forhindrer eller reducerer blødningsepisoder.

3. Det skal du vide, før du begynder at få HEMGENIX®

Det er vigtigt, at du til fulde forstår fordelene og risiciene ved behandling med HEMGENIX® samt de klarlagte og de endnu ikke klarlagte langsigtede virkninger, både i relation til sikkerhed og virkning. Nedenstående afsnit indeholder vigtige oplysninger om behandlingen med HEMGENIX®. Læs oplysningerne grundigt, og kontakt lægen eller sygeplejersken, hvis du har yderligere spørgsmål.

a. Leversundhed

INDEN BEHANDLING MED HEMGENIX®

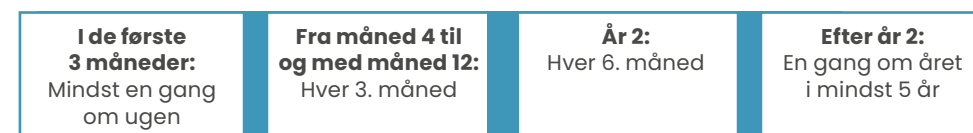
For at vurdere, om dette lægemiddel er velegnet til dig, vil lægen kontrollere din leversundhed, før du starter behandling med HEMGENIX®, ved hjælp af:

- Blodprøver til måling af niveauet af leverenzymmer i dit blod
- Ultralydsundersøgelser af leveren
- Elastografi for at undersøge leveren for ardannelse og fortykkelse

EFTER BEHANDLING MED HEMGENIX®

Efter behandlingen med HEMGENIX® vil lægen fortsætte med at kontrollere dit helbred. Det er **vigtigt**, at du **drøfter planlægningen af blodprøver** med lægen, så de kan gennemføres, som de skal.

HEMGENIX® udløser et respons i dit immunsystem, som kan medføre en stigning i niveauet af visse leverenzymmer, kaldet transaminaser, i blodet (transaminitis). **Lægen vil regelmæssigt kontrollere dit niveau af leverenzymmer** for at sikre, at lægemidlet virker, som det skal:



- Hvis du oplever en stigning i leverenzymmer, skal du muligvis have taget hyppigere blodprøver for at kontrollere niveauet af leverenzymmer, indtil det vender tilbage til normalniveauet.
- Du skal muligvis også tage andre lægemidler (f.eks. kortikosteroider) til behandling af disse bivirkninger.
- Du skal informere lægen og andre sundhedspersoner, hvis du bruger kortikosteroider eller andre immunsuppressiva. Hvis du ikke kan tage kortikosteroider, kan lægen eventuelt anvisse andre lægemidler til håndtering af leverproblemer.
- Lægen kan også gennemføre yderligere undersøgelser for at udelukke andre årsager til stigningen i leverenzymmer, om nødvendigt i samråd med en læge, der har erfaring i leversygdomme.

Det anbefales, at du **undgår at tage lægemidler, der kan forårsage leverskade**, både før og efter behandlingen. **Fortæl det altid til lægen eller sygeplejersken, hvis du tager andre lægemidler, for nylig har taget andre lægemidler eller planlægger at tage andre lægemidler.** Hvis du tager lægemidler, der kan være skadelige for leveren (hepatotoksiske lægemidler), kan lægen beslutte, at du skal stoppe med at tage de pågældende lægemidler, før du kan få HEMGENIX®.

b. Abnorm blodstørkning (tromboemboliske hændelser)

Når du har hæmofili B, har du som regel mindre risiko for tromboemboliske hændelser (f.eks. blodpropper i lungen eller i dybe vener) på grund af din medfødte mangel i blodstørkningssystemet.

Genoprettelsen af faktor IX-aktivitet kan medføre, at du får den samme potentielle risiko for blodpropper som personer uden hæmofili.

Hvis du allerede har risikofaktorer for tromboemboliske hændelser, såsom kardiovaskulær eller kardiometabolisk sygdom, arteriosklerose, hypertension, diabetes og høj alder, kan den potentielle risiko for tromboemboliske hændelser være højere.

Vær opmærksom på tegnene på abnorm blodstørkning:

Tegnene på abnorm blodstørkning kan omfatte:

Pludselige brystmerter, åndenød, pludseligt indsvækkende muskelsvaghed, nedsat føleevne og/eller balance, nedsat årvågenhed, talebesvær eller hævelse i et eller begge ben.



Hvis du bemærker tegn på abnorm blodstørkning:

Kontakt straks lægen

c. Potentiel risiko for ondartet sygdom i forbindelse med HEMGENIX®

HEMGENIX® sætter sig i dine leverceller og kan muligvis også sætte sig i levercellernes dna eller andre kropscellers dna. Som følge deraf kan HEMGENIX® bidrage til en risiko for kræft, såsom leverkræft (hepatocellulært karcinom). Selvom dette ikke er set i de kliniske studier til dato, er det stadig en mulighed som følge af lægemidlets art, idet det indeholder en viral komponent. Du bør derfor drøfte dette med lægen.

• Hvis du allerede har risikofaktorer for hepatocellulære karcinomer, vil lægen **jævnligt (f.eks. en gang om året) kontrollere din leversundhed i mindst 5 år efter behandlingen med HEMGENIX®** og gennemføre følgende undersøgelser:

- Årlig ultralydsundersøgelse af leveren.
- Årlig blodprøve for at kontrollere blodet for forhøjet niveau af alfa-føtoprotein.

Risikofaktorerne for hepatocellulære karcinomer omfatter:

- leverfibrose (arvæv og fortykkelse af leveren)
- hepatitis B eller hepatitis C i sygehistorien
- fedtlever (non-alkoholisk fedtlever)
- overforbrug af alkohol

• I tilfælde af kræft kan din læge tage en prøve af din kræft (biopsi) for at undersøge, om HEMGENIX® har sat sig i celle-dna'et.

d. Overførsel af HEMGENIX®

I en forbigående periode kan det aktive stof i HEMGENIX® blive udskilt via dit blod, din sæd, din modermælk, din urin/afføring og sved via en proces, der kaldes for 'shedding'.

For at forhindre, at personer uden hæmofili B bliver udsat for HEMGENIX®-dna via sheddingprocessen i din krop og/eller sæd, **må du ikke donere blod, sæd, organer, væv eller celler til transplantation, når du er blevet behandlet med HEMGENIX®.**

Når en mandlig patient er blevet behandlet med HEMGENIX®, skal patienten og dennes kvindelige partner **undgå graviditet i 12 måneder.** I bør anvende **sikker prævention** (f.eks. barriereprævention såsom kondom eller pessar). Det skyldes, at der er en teoretisk risiko for, at faktor IX-genet fra faderens HEMGENIX®-behandling bliver overført til barnet med ukendte konsekvenser. Af samme årsag må mandlige patienter ikke donere sæd. **Drøft egnede præventionsmetoder med lægen.**

Behandling med HEMGENIX® er frarådet hos kvinder, der er gravide eller kan blive gravide.

e. Udvikling af faktor IX-inhibitorer

Neutraliserende antistoffer mod faktor IX-proteiner (faktor IX-inhibitorer) kan forhindre HEMGENIX® i at virke korrekt.

Lægen vil eventuelt kontrollere dit blod for disse faktor IX-inhibitorer, hvis dine blødninger ikke kan kontrolleres, eller hvis de vender tilbage, efter du har fået HEMGENIX®.

f. Præeksisterende immunitet over for vektoren

Nogle personer har medført "immunitet" (dvs. antistoffer) over for de adeno-associerede virus-vektorer (AAV-vektorer), der bliver anvendt til genterapien – dette kan forhindre effektiv levering af genoplysningerne.

Høj præeksisterende immunitet over for vektoren kan nedsætte virkningen af HEMGENIX®.

Du forventes derfor at få kontrolleret din titer af præeksisterende neutraliserende anti-AAV5-antistoffer før behandling med HEMGENIX®.

g. Respons på behandlingen

Ikke alle patienter får nødvendigvis gavn af behandlingen med HEMGENIX®.

Patienter, der ikke responderer på behandlingen, er stadig udsatte for de langsigtede risici.

Hvis du ikke responderer på behandlingen, eller hvis du mister responset, kan du ikke blive behandlet med HEMGENIX® igen.

4. Langsigtet opfølgning efter administration af HEMGENIX®

Den langsigtede virkning og sikkerhed af HEMGENIX® er stadig ikke klarlagt.

Efter behandlingen med HEMGENIX® **forventes du at blive optaget i et opfølgende studie, der har til formål at undersøge den langsigtede sikkerhed af behandlingen i 15 år, hvor godt den fortsætter med at virke, og hvilke bivirkninger, der kan være forbundet med behandlingen.**

Du bør tale med lægen for at få yderligere oplysninger om opfølgningsstudiet, før du får behandling med HEMGENIX®.

5. Hvad er formålet med patientkortet?

Patientkortet indeholder vigtige sikkerhedsoplysninger, som du og sundhedspersoner skal være opmærksomme på **efter behandlingen med HEMGENIX®**.

Som forklaret i denne vejledning er der visse anbefalinger, der skal følges med henblik på sikker brug af HEMGENIX®, og det er derfor meget vigtigt, at du deler disse oplysninger med enhver læge eller anden sundhedsperson, du konsulterer. Det er formålet med patientkortet.



- Lægen bør give dig et HEMGENIX®-patientkort den dag, hvor du får HEMGENIX®.
- Hav altid kortet på dig, f.eks. i din pung eller taske.
- Vis patientkortet til lægen eller sygeplejersken hver gang, du har en sundhedsaftale.
- Vis kortet, så snart du ankommer, hvis du skal på skadestuen.
- Fortæl din omsorgsperson og andre nære relationer om din behandling, og vis dem patientkortet, da de muligvis kan bemærke bivirkninger, som du ikke selv er opmærksom på.

Kortet fungerer også som en påmindelse til dig om betydelige risici, der kan opstå, og som du skal kende til.

6. Hvad skal jeg gøre i tilfælde af en formodet bivirkning?

Kontakt lægen eller sygeplejersken, hvis du får bivirkninger. Dette gælder også mulige bivirkninger, som ikke er medtaget i denne vejledning til patienter/omsorgspersoner. Du eller dine pårørende kan også indberette bivirkninger direkte via:

Lægemiddelstyrelsen
Axel Heides Gade 1
DK-2300 København S
Websted: www.meldenbivirkning.dk

Ved at indrapportere bivirkninger kan du hjælpe med at fremskaffe mere information om sikkerheden af dette lægemiddel.

7. Yderligere information

Denne vejledning og andre dokumenter, der er udarbejdet som en del af risikostyringsplanen for HEMGENIX®, kan downloades på CSL Behrings hjemmeside: <https://www.cslbehring.dk/produkter/produktliste/hemgenix/uddannelsesmateriale>

Det endelige uddannelsesmateriale publiceres også på Lægemiddelstyrelsens hjemmeside.

Du kan finde flere oplysninger i indlægssedlen som findes her: <http://www.indlaegssedel.dk/> og i produktresuméet for HEMGENIX®, som findes på Det Europæiske Lægemedelagentur's hjemmeside (<https://www.ema.europa.eu>)

Kontaktoplysninger

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

Patientens noter:

©2023 CSL Behring AB,
Box 712 SE-182 17 Danderyd

HEMGENIX® RMP vejledningen til patienter/
omsorgspersoner Version 1.0 - 19-Dec-2022

Godkendt af Lægemiddelstyrelsen 03.07.23.

The CSL Behring logo is displayed in a white rectangular box at the bottom right of the page. The text "CSL Behring" is written in a bold, red, sans-serif font.