

Risicominimalisatie-materiaal voor zorgverleners over de risico's van Libmeldy

BELANGRIJKE VEILIGHEIDSINFORMATIE VOOR ZORGPROFESSIONALS

LIBMELDY®▼ 2 - 10 x 10⁶ cellen/ml dispersie voor infusie

(atidarsagen autotemcel)

De informatie in deze gids is essentieel om te zorgen voor doeltreffende opvolging van patiënten met metachromatische leukodystrofie (MLD) die Libmeldy gentherapie hebben gekregen, en passende monitoring en management van geselecteerde belangrijke risico's verbonden aan het gebruik ervan. Daarom wordt aangeraden dat u deze handleiding samen met de samenvatting van de productkenmerken (SmPC) zorgvuldig leest voordat u het geneesmiddel voorschrijft en daarop het opvolgen van patiënten uitvoert.

▼ Dit geneesmiddel is onderworpen aan aanvullende monitoring. Daardoor kan snel nieuwe veiligheidsinformatie worden vastgesteld. Beroepsbeoefenaren in de gezondheidszorg wordt verzocht alle vermoedelijke bijwerkingen te melden. *Details voor het melden zijn te vinden aan het einde van deze handleiding.*



Over deze handleiding

Dit materiaal beschrijft aanbevelingen om belangrijke risico's van Libmeldy te beperken of te voorkomen. Het materiaal is beoordeeld door het College ter Beoordeling van Geneesmiddelen (CBG).

Deze handleiding bevat belangrijke risicobeperkende informatie voor zorgprofessionals die Libmeldy toedienen en/of langetermijn vervolgonderzoek uitvoeren bij patiënten met MLD na behandeling met Libmeldy (atidarsagen autotemcel).

Om Libmeldy te produceren, worden autologe CD34⁺ HSPC verrijkt vanuit gemobiliseerd perifere bloed (mPB) en getransduceerd met een lentivirale vector (LVV), die één of meer exemplaren van het menselijk ARSA-gen in het celgenoom inbrengt, zodanig dat de gemodificeerde cellen het functionele ARSA-enzym tot expressie kunnen brengen.

Libmeldy is enkel bedoeld voor autoloog gebruik en mag nooit worden toegediend aan andere patiënten.

Er is extra materiaal voor de patiënt, de ouders en/of verzorgers van de patiënt. Zorgverleners worden verzocht dit materiaal aan de patiënt of zijn/haar ouders of verzorgers mee te geven.

Risico op maligniteit als gevolg van insertionele mutagenese

Om Libmeldy te produceren, wordt een gemodificeerd lentivirus gebruikt om één of meer functionele kopieën van het ARSA-gen in het genoom van de stamcellen van de patiënt te integreren. De integratie van een nieuw stukje DNA in het gastheercelgenoom kan een risico op maligniteit meebrengen zoals leukemie of lymfoom. Er werden geen gevallen van maligne klonale expansie, maligniteit of bijwerkingen (AE's) indicatief voor oncogene transformatie gemeld bij patiënten met MLD die werden behandeld met Libmeldy. Tot nu toe is er op basis van analyse van de integratieplaats, ook geen bewijs van afwijkend klonaal gedrag bij patiënten met MLD behandeld met Libmeldy. Maligniteit als gevolg van insertionele mutagenese blijft een theoretisch risico, daarom is het belangrijk om de behandelde patiënten te controleren op tekenen en symptomen van oncogene transformatie, leukemie of lymfoom.

Adviseren van ouders en patiënten om te controleren op tekenen en symptomen van leukemie of lymfoom

De ouders of voogden, verzorgers van kinderen met MLD behandeld met Libmeldy, en indien oud genoeg, patiënten die behandeld worden tijdens de kinderjaren, moeten geadviseerd worden over controle op symptomen en tekenen van leukemie of lymfoom (bijvoorbeeld, kortademigheid, klinische bleekheid, koorts, nachtelijk zweten, gezwollen lymfeklieren, gemakkelijk gaan bloeden/petechiën, veelvuldige infecties, vermoeidheid) en moeten meteen contact opnemen met de arts van de patiënt als ze één of meer van de symptomen zoals hierboven beschreven ontwikkelen.

Reguliere klinische controle wordt aanbevolen

Er moet regelmatig een volledige bloedbeeld met Hb en cel indices, witte bloedlichaampjes met differentiatie, aantal bloedplaatjes, en routine biochemie worden uitgevoerd volgens de lokale klinische richtlijnen. Deze kan gevolgd worden door een meer gedetailleerde analyse, indien geïndiceerd, bijvoorbeeld bloeditstrijkje/film of cytogenetisch onderzoek. In het geval dat bij een patiënt die Libmeldy heeft gekregen, leukemie of lymfoom wordt vastgesteld, dient een bloedmonster te worden afgenomen voor analyse van de integratieplaats.

Vertraagde *engraftment* van bloedplaatjes

Er zijn gevallen van vertraagde bloedplaatjes-*engraftment* geweest bij een klein aantal patiënten behandeld met Libmeldy. Dit was niet gerelateerd aan een verhoogde incidentie van bloeding, maar blijft een belangrijk risico.

Monitoring

Het aantal bloedplaatjes moet gemonitord worden naar medische oordeel totdat transplantatie en herstel van deze cellen bereikt is.

Management

Na myeloablatieve conditionering en behandeling met Libmeldy, moet ondersteunende transfusie van bloedplaatjes plaatsvinden volgens het medische oordeel en de lokale klinische richtlijnen.

Anti-ARSA antilichamen

De ontwikkeling van anti-ARSA antilichamen (AAA) is een potentieel risico na behandeling met Libmeldy. Controle op AAA vóór behandeling en na behandeling met Libmeldy wordt daarom aanbevolen zoals hieronder beschreven (zie ook SmPC rubriek 4.4 voor meer informatie).

Monitoring

Monitoring van AAA wordt aanbevolen op de volgende tijdstippen:

- Voorafgaand aan behandeling
- Na behandeling: 1-2 maanden na gentherapie, 6 maanden, 1 jaar, 3 jaar, 5 jaar, 7 jaar, 9 jaar, 12 jaar, 15 jaar na behandeling.

In geval van ontstaan van symptomen of significante ziekteprogressie, wordt extra AAA monitoring ook aangeraden.

Management

Als de aanwezigheid van AAA is bevestigd (d.w.z. Na tweede/herhaalde test), kan een korte behandeling met rituximab worden overwogen, naar het oordeel van de behandelend arts, rekening houdend met de geïdentificeerde AAA titers, klinische manifestaties van de ziekte (neurologische symptomen, vertraagde mijlpalen) of andere auto-immuunsymptomen waarvoor er een indicatie is voor een B-cel depletiebehandeling.

Patiënten bij wie AAA verdwenen zijn na een rituximab-kuur moeten regelmatig gecontroleerd blijven worden op de aanwezigheid van antilichamen gedurende ten minste één jaar.

Falen van transplantatie

Falen van neutrofielen-*engraftment* is een tijdelijk maar belangrijk potentieel risico, gedefinieerd als het uitblijven van een absoluut aantal neutrofielen (ANC) > 500 cellen/ μ l in combinatie met het uitblijven van bewijs van beenmergherstel (d.w.z. hypocellulair beenmerg) op dag 60 na myeloablatieve conditionering en Libmeldy-infusie. In klinische onderzoeken, werd hematologisch herstel na conditionering met busulfan meestal vier tot vijf weken na het toedienen van Libmeldy gezien en geen van de proefpersonen rapporteerde een falen van transplantatie. Patiënten moeten worden gecontroleerd op tekenen en symptomen van cytopenie gedurende minimaal 6 weken na de toediening.

Monitoring

Het aantal rode bloedcellen en bloedplaatjes moet gemonitord worden naar medische oordeel tot *engraftment* van deze cellen en herstel bereikt is. Ondersteunende transfusie van rode bloedcellen en bloedplaatjes moet worden toegediend volgens het medische oordeel en de lokale klinische richtlijnen. Het bepalen van het aantal bloedcellen en andere passende testen moeten onmiddellijk worden overwogen wanneer klinische symptomen optreden die wijzen op bloeding.

Management

Als cytopenie aanhoudt na zes tot zeven weken, ondanks het gebruik van granulocyt-mobiliserende middelen, moeten de niet-getransduceerde reservestamcellen worden toegediend. Als cytopenie aanhoudt ondanks toediening van niet-getransduceerde reservestamcellen, dienen alternatieve behandelingen te worden overwogen.

Long-TERM MLD-onderzoek

Het Long-TERM MLD-onderzoek stelt Orchard Therapeutics in staat te voldoen aan wettelijke vereisten voor doorlopende verzameling van gegevens van de langdurige opvolging (tot 15 jaar na de behandeling met Libmeldy), om meer inzicht te krijgen in de veiligheid en werkzaamheid van Libmeldy op de lange termijn.

Patiënten worden verwacht deel te nemen aan het Long-TERM MLD-onderzoek. Het Long-TERM MLD-onderzoek omvat patiënten die eerder zijn behandeld in het klinisch ontwikkelingsprogramma van Libmeldy en de patiënten die behandeld zullen worden nadat het in de handel is gebracht.

Belangrijke punten om te bespreken met patiënten en/of ouders/verzorgers

Zorg ervoor dat patiënten en/of ouders/verzorgers het volgende begrijpen:

- De mogelijke risico's van een behandeling met Libmeldy
- De tekenen van een maligniteit, zoals leukemie/lymfoom en welke actie moet worden ondernomen
- De inhoud van de gids voor patiënt en ouder/verzorger en de waarschuwingskaart voor patiënten
- De noodzaak om de waarschuwingskaart voor patiënten bij zich te dragen en te laten zien aan zorgverleners
- Het belang van regelmatige controle en langetermijnvervolgonderzoek

Contactgegevens voor het melden van vermoede bijwerkingen van Libmeldy

Meld bijwerkingen bij het Nederlands Bijwerkingencentrum Lareb

▼ Dit geneesmiddel is onderworpen aan aanvullende monitoring. Daardoor kan snel nieuwe veiligheidsinformatie worden vastgesteld.

Het is belangrijk om na toelating van het geneesmiddel vermoedelijke bijwerkingen te melden. Op deze wijze kan de verhouding tussen voordelen en risico's van het geneesmiddel voortdurend worden gevolgd. Beroepsbeoefenaren in de gezondheidszorg wordt verzocht alle vermoedelijke bijwerkingen te melden via het Nederlands Bijwerkingen Centrum Lareb; website www.lareb.nl

Meld alle vermoede bijwerkingen met betrekking tot Libmeldy ook bij Orchard Therapeutics via e-mail naar drugsafety@orchard-tx.com.

Bij het melden van mogelijke bijwerkingen, voegt u het partijnummer van het geneesmiddel bij dat te vinden is op de waarschuwingskaart voor patiënten en het informatieblad van de partij.

Overige informatie

U kunt extra materiaal opvragen bij Medical Information van Orchard Therapeutics, te bereiken via medinfo@orchard-tx.com.

Het materiaal is online beschikbaar op www.orchard-tx.nl.

Aanvullende informatie betreffende Libmeldy is beschikbaar in de Samenvatting van productkenmerken (SmPC) en de bijsluiter op www.geneesmiddeleninformatiebank.nl.

Risicominimalisatie-materiaal voor zorgverleners over de risico's van Libmeldy

Handleiding voor het hanteren en toedienen

LIBMELDY®▼ 2 - 10×10^6 cellen/ml dispersie voor infusie

(atidarsagen autotemcel)

▼ Dit geneesmiddel is onderworpen aan aanvullende monitoring. Daardoor kan snel nieuwe veiligheidsinformatie worden vastgesteld. Beroepsbeoefenaren in de gezondheidszorg wordt verzocht alle vermoedelijke bijwerkingen te melden. Rapportagedetails zijn te vinden aan het einde van deze handleiding.



Algemeen

Dit materiaal beschrijft aanbevelingen om belangrijke risico's van Libmeldy te beperken of te voorkomen. Het materiaal is beoordeeld door het College ter Beoordeling van Geneesmiddelen (CBG).

- Libmeldy moeten worden toegediend in een gekwalificeerd behandelingscentrum (qualified treatment centre, QTC) met ervaring met hematopoëtische stamceltransplantatie (haematopoietic stem cell transplantation, HSCT).
- Libmeldy is enkel bedoeld voor autoloog gebruik via intraveneus infuus en mag nooit worden toegediend aan andere patiënten.
- De toe te dienen dosis Libmeldy moet worden gedefinieerd op basis van het totale aantal geleverde CD34⁺ cellen, het gewicht van de patiënt op het moment van behandeling, en het feit dat elke zak in zijn geheel moet worden toegediend. Voor gedetailleerde informatie over de toe te dienen dosis Libmeldy, raadpleeg het partij-informatiebladen rubriek 6.6 van de samenvatting van de productkenmerken (Summary of Product Characteristics, SmPC) en de informatie bedoeld voor zorgprofessionals aan het einde van de patiëntenbijsluiters (PIL). Het partij-informatieblad wordt meegezonden bij elke levering en vermeldt het aantal geleverde cellen per zak.
- Het wordt aanbevolen om intraveneuze chloorfeniramine of een vergelijkbaar geneesmiddel te gebruiken als premedicatie vóór de toediening van Libmeldy, om de kans op een allergische reactie op het infuus te verkleinen.
- Myeloablatieve conditionering is vereist voorafgaan aan toediening van Libmeldy ter bevordering van efficiënte transplantatie van de genetisch gemodificeerde autologe CD34⁺ cellen. Busulfan is het aanbevolen conditioneringsmiddel.
- Libmeldy mag slechts eenmalig worden toegediend.

Er is extra materiaal voor de patiënt, de ouders en/of verzorgers van de patiënt. Zorgverleners worden verzocht dit materiaal aan de patiënt of zijn/haar ouders of verzorgers mee te geven.

Te nemen voorzorgen voorafgaand aan gebruik of toediening van het product

- Libmeldy wordt uit gemobiliseerd perifeer bloed bereid en bestaat uit genetisch gemodificeerde cellen. Het kan een risico met zich meebrengen op overdracht van besmettelijke ziekten op zorgprofessionals die het geneesmiddel hanteren.
- Zorgprofessionals die Libmeldy hanteren, moeten gepaste voorzorgsmaatregelen treffen (dragen van handschoenen, beschermende kleding en oogbescherming) om mogelijke overdracht van besmettelijke ziekten te vermijden.

Instructies voor het ontvangen en opslaan van Libmeldy

- Elke infuuszak wordt geleverd in een buitenzak die in een metalen cassette zit. De infuuszak(ken) moet(en) worden opgeslagen in de cassette(s), in cryogene opslag, totdat het tijd is ze te ontdooien voor toediening.
- Op het partij-informatieblad staat het totale aantal geleverde zakken.
- Controleer na ontvangst van Libmeldy of de temperatuur van de cryoshipper (vloeibare stikstof [LN₂] droge damp shipper) is aangehouden tijdens de hele zending door de temperatuur-trace te controleren.
- Als Libmeldy naar het QTC is verzonden vóór de behandeling en vervolgens wordt opgeslagen in het centrum, kan vervolgens een vloeibare stikstof cryogene opslag/transport dewar (een dubbelwandige kolf van metaal of verzilverd glas met een vacuüm tussen de wanden, gebruikt om vloeistoffen ruim onder de omgevingstemperatuur vast te houden, in plaats van de LN₂ cryoshipper) gebruikt worden voor het opslaan en vervoeren van Libmeldy van de QTC opslagruimte tot toediening. Tijdens het overbrengen van de cassette(s) van de LN₂ cryoshipper naar een cryogene opslag/transport dewar, controleer op zichtbare schade aan het product en verifieer dat de informatie op het etiket van de cassette(s) en secundaire buitenzak(ken) overeenkomt met het partij-informatieblad. Tijdens de inspectie van de etiketten, mag/mogen de cassette(s) niet langer dan 1 minuut worden blootgesteld aan omgevingstemperatuur.
- Als de cassette(s) worden opgeslagen in de LN₂ cryoshipper tot vlak voor toediening, haalt u de cassettes uit de cryoshipper, controleert u op zichtbare schade aan het product en verifieert u dat de informatie op het etiket van de cassette(s) en secundaire buitenzak(ken) overeenkomt met het partij-informatieblad. Na verificatie, plaatst u de cassette(s) terug in de LN₂ cryoshipper. Tijdens de inspectie van het etiket, mag/mogen de cassette(s) niet langer dan 1 minuut worden blootgesteld aan omgevingstemperatuur.
- Bij ontvangst van Libmeldy, moet worden geverifieerd dat de identiteit van de patiënt overeenkomt met de unieke patiëntinformatie op de verpakkingsetiketten en op het begeleidende partij-informatieblad. Libmeldy is uitsluitend bestemd voor autoloog gebruik.
- Libmeldy moet te allen tijde op < -130°C blijven totdat het wordt ontdooid voor toediening. De enige uitzondering is het verwijderen van de cassette voor inspectie of voor verplaatsing van de LN₂ cryoshipper naar een cryogene opslag/transport dewar – zie hierboven.

LET OP: Indien opgeslagen bij andere celtherapieproducten die mogelijk een iets andere opslagtemperatuur hebben, moet het QTC ervoor zorgen dat de opslagtemperatuur te allen tijde wordt gehandhaafd op < -130°C.

Instructies voor controle van Libmeldy voorafgaand aan toediening

- Haal het geneesmiddel niet uit de cryogene opslag voordat de patiënt klaar is voor toediening.
- Controleer of de informatie op het etiket van de cassette overeenkomt met het partij-informatieblad.
- Bevestig voorafgaand aan het ontdooien van Libmeldy dat het cryogeconserveerde product op de juiste wijze is opgeslagen bij $< -130^{\circ}\text{C}$ en dat de identiteit van een patiënt overeenkomt met de unieke patiëntinformatie op het etiket van de secundaire verpakking van Libmeldy en op het begeleidende partij-informatieblad.
- Libmeldy is uitsluitend bestemd voor autoloog gebruik. Dien Libmeldy niet toe als de informatie op de patiëntspecifieke etiketten niet overeenkomt met de betreffende patiënt.
- Inspecteer de buitenzak op zichtbare barsten of scheuren voorafgaand aan het ontdooien.

LET OP: Als de buitenzak beschadigd is, volg dan de richtlijnen van uw instelling voor het weggooien van afval van menselijk afgeleide materiaal en neem contact op met Orchard op QTC@orchard-tx.com.

Instructies voor het ontdooien van Libmeldy

- Ontdooi Libmeldy pas wanneer de patiënt klaar is voor toediening.
- Verwijder de infuuszak niet uit de buitenzak voordat het product is ontdooid.
- Ontdooi Libmeldy in de afgesloten buitenzak gedurende 12 minuten op 37°C met een apparaat voor gecontroleerde ontdooiing.
- Het wordt niet aanbevolen een waterbad te gebruiken om Libmeldy te ontdooien.
- Zorg ervoor dat het apparaat voor gecontroleerde ontdooiing werkt en onderhouden is in overeenstemming met het advies van de fabrikant.
- Ontdooi totdat er geen zichtbare ijs over is
- Zodra het ontdooien voltooid is, haalt u het product, nog in de buitenzak, uit het apparaat.
- Ga niet verder met verwarmen van het product in het apparaat nadat het ontdooid is.
- Bewaar op kamertemperatuur ($20\text{--}25^{\circ}\text{C}$) en ga direct door naar toediening.
- Open voorzichtig de verzegelde buitenzak en verwijder de primaire infuuszak.
- Masseer de infuuszak voorzichtig tussen vingers en duimen om de cellen te resuspenderen en mogelijke celaggregaten te spreiden. Controleer de inhoud op resterende zichtbare celaggregaten. Als er zichtbare celaggregaten blijven, masseert u de infuuszak voorzichtig.
- De zak niet schudden. Kleine klompjes celmateriaal zouden zich moeten verspreiden door het voorzichtig mengen.
- Als meer dan één infuuszak nodig is voor de behandel dosis van de patiënt, mag de volgende zak pas worden ontdooid nadat de inhoud van de voorgaande zak is toegediend.
- De infuuszak mag niet worden gewassen, afgedraaid, bemonsterd en/of opnieuw gesuspendeerd in nieuw medium voorafgaand aan de toediening.
- Libmeldy mag niet worden bestraald omdat bestraling kan leiden tot inactivering van het product.

LET OP: Als de infuuszak beschadigd is, volg dan de richtlijnen van uw instelling voor het weggooien van afval van menselijk afgeleide materiaal en neem contact op met Orchard op QTC@orchard-tx.com.

Instructies voor toediening van Libmeldy

- Dien Libmeldy niet toe na de vervaldatum (vermeld op het etiket).
- Bevestig voorafgaand aan toediening dat de identiteit van de patiënt overeenkomt met de unieke identificatie van de patiënt op het etiket op de infuuszak. Dien Libmeldy niet toe als de informatie op het patiëntspecifieke etiket niet overeenkomt met de betreffende patiënt.
- Toediening van Libmeldy moet voor elke zak binnen 2 uur na ontdooien voltooid worden.
- Dien Libmeldy intraveneus toe met een transfusie toedieningsset. De aanbevolen toedieningsset bestaat uit een bloedtransfusieset uitgerust met een 200 µm filter. Gebruik geen filters met een fijnere maaswijdte, aangezien dit het geneesmiddel kan vasthouden.
- Dien toe met behulp van zwaartekracht. Een infusiepomp kan gebruikt worden om de infusiesnelheid te regelen en vloeistofbalans te handhaven.
- De maximale infuussnelheid is 5 ml/kg/u, en elke zak Libmeldy moet binnen ongeveer 30 minuten worden toegediend als een intraveneus infuus via een centraal veneuze katheter.
- Als meer dan één zak Libmeldy nodig is, mag slechts één zak Libmeldy per uur worden toegediend.
- Na toediening, spoel de zak, infususet en lijn op dezelfde inloopsnelheid met natriumchloride 9 mg/ml (0,9%) oplossing voor injectie, voor een complete toediening van Libmeldy.
- De totale hoeveelheid toe te dienen vloeistof moet in overeenstemming zijn met medische richtlijnen gegeven de leeftijd en het gewicht van de patiënt. Wanneer meer dan één zak Libmeldy nodig is, moet vóór infusie worden verzekerd dat de hoeveelheid geneesmiddel dat wordt toegediend in overeenstemming is met de limiet van dimethylsulfoxide (DMSO). Het totale volume toegediende DMSO, moet < 1% van het geschatte plasmavolume van de patiënt blijven. Voor advies over de DMSO veiligheidslimiet, raadpleeg rubriek 6.6 van de SmPC en de informatie bedoeld voor gezondheidszorgprofessionals aan het einde van de bijsluiter.
- Na de Libmeldy-infusie moeten de standaardprocedures voor de behandeling van een patiënt na HSPC-transplantatie worden gevolgd.

Voorzorgsmaatregelen voor afvoer van Libmeldy

- Al het ongeopende, ongebruikte geneesmiddel en al het materiaal dat in aanraking is gekomen met Libmeldy (vast en vloeibaar afval) dient te worden behandeld en afgevoerd als mogelijk besmettelijk afval volgens de lokale richtlijnen voor het omgaan met van mensen afkomstig materiaal.

Onbedoelde blootstelling aan Libmeldy

- In geval van onbedoelde blootstelling aan Libmeldy moeten de lokale voorschriften voor de verwerking van materiaal van menselijke oorsprong in acht worden genomen. Werkoppervlakken en materialen die mogelijk in contact zijn geweest met Libmeldy, moeten worden ontsmet met een geschikt ontsmettingsmiddel.

Melding van vermoedelijke bijwerkingen

- **Meld bijwerkingen bij het Nederlands Bijwerkingencentrum Lareb**

▼ Dit geneesmiddel is onderworpen aan aanvullende monitoring. Daardoor kan snel nieuwe veiligheidsinformatie worden vastgesteld.

Het is belangrijk om na toelating van het geneesmiddel vermoedelijke bijwerkingen te melden. Op deze wijze kan de verhouding tussen voordelen en risico's van het geneesmiddel voortdurend worden gevolgd. Beroepsbeoefenaren in de gezondheidszorg wordt verzocht alle vermoedelijke bijwerkingen te melden via het Nederlands Bijwerkingen Centrum Lareb; website www.lareb.nl

- Meld alle vermoede bijwerkingen met betrekking tot Libmeldy ook bij Orchard Therapeutics via e-mail naar drugsafety@orchard-tx.com.
- Bij het melden van mogelijke bijwerkingen, voegt u het partijnummer van het geneesmiddel bij dat te vinden is op de waarschuwingskaart voor patiënten en het informatieblad van de partij.

Overige informatie

- U kunt extra materiaal opvragen via Medical Information van Orchard Therapeutics, te bereiken via: medinfo@orchard-tx.com.
- Het materiaal is online beschikbaar op www.orchard-tx.nl.
- Aanvullende informatie betreffende Libmeldy is beschikbaar in de Samenvatting van productkenmerken (SmPC) en bijsluiter op www.geneesmiddeleninformatiebank.nl.

Informatie voor de patiënt, ouders en verzorgers van de patiënt

Let op bij gebruik van Libmeldy. Atidarsagen autotemcel is de werkzame stof in het medicijn. Uw medicijn kan een merknaam hebben die anders is dan de werkzame stof. Kijk dus goed over welk medicijn dit gaat.

LIBMELDY®▼ 2 - 10 x 10⁶ cellen/ml dispersie voor infusie

(atidarsagen autotemcel)

Belangrijke risicobeperkende informatie en educatieve gids voor patiënten en verzorgers van patiënten die Libmeldy gentherapie hebben ontvangen (een autologe CD34⁺ cel verrijkte populatie met hematopoëtische stam- voorlopercellen (HSPC) *ex vivo* getransduceerd met een lentivirale vector die het menselijke arylsulfatase A (ARSA) gen codeert).

Lees goed de hele bijsluiter voordat uw kind (of u) dit geneesmiddel gaat gebruiken want er staat belangrijke informatie in.

▼ Dit medicijn staat onder extra toezicht. Dit zorgt ervoor dat we snel nieuwe informatie over de veiligheid van dit medicijn verkrijgen.

Neem contact op met uw arts als u last krijgt van bijwerkingen. Doe dit ook bij bijwerkingen die niet in de bijsluiter staan. U kunt bijwerkingen melden via het Nederlands Bijwerkingen Centrum Lareb, website: www.lareb.nl. Door bijwerkingen te melden helpt u ons aan meer informatie over de veiligheid van dit medicijn.

Krijgt uw kind last van bijwerkingen, bespreek dat met de arts of verpleegkundige. Dit geldt ook voor bijwerkingen die niet in de bijsluiter staan. Zie de achterkant van deze handleiding voor manieren om bijwerkingen te melden.

Over deze handleiding

De informatie in deze handleiding is essentieel voor het goed begeleiden van uw kind na de gentherapiebehandeling met Libmeldy voor metachromatische leukodystrofie (MLD) en beschrijft waarom en hoe dit moet worden uitgevoerd. Lees deze handleiding goed door en neem contact op met de specialist van uw kind als u vragen heeft.

Gentherapie voor MLD en het risico op bloedkanker

Door de manier waarop de stamcellen van uw kind genetisch zijn aangepast is mogelijk van invloed op het bestaande genetische materiaal. Daardoor kan uw kind risico lopen op leukemie of lymfoom, soorten kanker die de witte bloedcellen treffen. Geen van de patiënten die in klinische onderzoeken werden behandeld met Libmeldy kregen leukemie of lymfoom, maar er is een klein risico dat dit in de toekomst kan gebeuren. Het is daarom belangrijk te controleren op symptomen van leukemie of lymfoom.

Symptomen van leukemie of lymfoom zijn onder meer koorts, kortademigheid, bleekheid, nachtelijk zweten, vermoeidheid, gezwollen lymfeklieren, veelvuldige infecties, een neiging tot bloeden en/of blauwe plekken krijgen, of kleine rode of paarse vlekken onder de huid. Als uw kind een van deze symptomen krijgt, moet u meteen contact opnemen met de specialist en moet deze informatie ook gemeld worden met behulp van de contactgegevens aan het einde van deze handleiding.

De specialist zal het bloed van uw kind ook controleren op tekenen van leukemie of lymfoom tijdens de jaarlijkse controles, die moet worden voortgezet na de behandeling.

Waarschuwingskaart voor patiënten

Na de behandeling van uw kind met Libmeldy krijgt hij/zij een waarschuwingskaart waar belangrijke informatie op staat. Het kind dat Libmeldy heeft gekregen of een ouder of verzorger moet deze waarschuwingskaart bij zich dragen om elke behandelende zorgverlener te laten weten dat het kind behandeld is met Libmeldy.

Belang van regelmatige controle

Een specialist zal de vooruitgang van uw kind na verloop van tijd volgen om te controleren op mogelijke bijwerkingen. Het kan voor sommige patiënten moeilijk zijn te vertellen hoe ze zich voelen; aarzel niet om alle symptomen of zorgen die u wellicht heeft te vertellen aan de specialist.

Inschrijving in een langetermijn-follow-uponderzoek

Er is een vervolgonderzoek opgezet om patiënten die behandeld zijn met Libmeldy te volgen om de effecten van dit medicijn op de lange termijn beter te kunnen begrijpen. U wordt hierover geïnformeerd door de behandelend arts van uw kind.

Het melden van bijwerkingen

Meld bijwerkingen bij het Nederlands Bijwerkingencentrum Lareb

▼ Dit medicijn staat onder extra toezicht. Dit zorgt ervoor dat we snel nieuwe informatie over de veiligheid van dit medicijn verkrijgen.

Neem contact op met uw arts als u last krijgt van bijwerkingen. Doe dit ook bij bijwerkingen die niet in de bijsluiter staan. U kunt bijwerkingen melden via het Nederlands Bijwerkingen Centrum Lareb, website: www.lareb.nl. Door bijwerkingen te melden helpt

u ons aan meer informatie over de veiligheid van dit medicijn.

Meld bijwerkingen ook bij Orchard Therapeutics drugsafety@orchard-tx.com.

Bij het melden van bijwerkingen, neemt u ook het partijnummer van het geneesmiddel op dat op de waarschuwingskaart voor patiënten staat.



Meer informatie

Deze informatie is ook terug te vinden op www.orchard-tx.nl.

Lees de bijsluiter voor meer informatie over uw medicijn op www.geneesmiddeleninformatiebank.nl. Ga met vragen over uw medicijn naar uw arts of apotheker.

Dit materiaal is goedgekeurd door het Nederlandse College ter Beoordeling van Geneesmiddelen (www.cbg-meb.nl).



Informatie voor de patiënt

Waarschuwingskaart voor patiënten

Draag deze kaart te allen tijde bij u.

Let op bij gebruik van Libmeldy. Atidarsagen autotemcel is de werkzame stof in het medicijn. Uw medicijn kan een merknaam hebben die anders is dan de werkzame stof. Kijk dus goed over welk medicijn dit gaat.

Vertel alle zorgverleners dat u behandeld bent met Libmeldy[®]▼ en laat ze deze kaart zien.

Mijn naam is: _____

Ik ben behandeld met Libmeldy, een gentherapie geneesmiddel voor metachromatische leukodystrofie.

Partijnummer geneesmiddel: _____

Datum van de behandeling: _____

Libmeldy behandelend arts: _____

Contactgegevens arts: _____

Meer informatie

Deze informatie is ook terug te vinden op www.orchard-tx.nl. Lees de bijsluiter voor meer informatie over uw medicijn op www.geneesmiddeleninformatiebank.nl. Ga met vragen over uw medicijn naar uw arts of apotheker. Dit materiaal is goedgekeurd door het Nederlandse College ter Beoordeling van Geneesmiddelen (www.cbg-meb.nl).

Belangrijke informatie voor gezondheidszorgprofessionals

Neem vóór behandeling contact op met de behandelend arts op de voorkant van deze kaart

De houder van deze kaart heeft Libmeldy gekregen, een autoloog gentherapie geneesmiddel, en mag geen bloed, organen, weefsels, en cellen doneren voor transplantatie.

Er bestaat een kans op vals positieve resultaten op bepaalde commerciële hiv-tests.

Zie voor meer informatie over Libmeldy de samenvatting van de productkenmerken of neem contact op met Orchard Therapeutics Medical Information: medinfo@orchard-tx.com

Melden van bijwerkingen

Meld bijwerkingen bij het Nederlands Bijwerkingencentrum Lareb

▼ Dit medicijn staat onder extra toezicht. Dit zorgt ervoor dat we snel nieuwe informatie over de veiligheid van dit medicijn verkrijgen.

Neem contact op met uw arts als u last krijgt van bijwerkingen. Doe dit ook bij bijwerkingen die niet in de bijsluiter staan. U kunt bijwerkingen melden via het Nederlands Bijwerkingen Centrum Lareb, website: www.lareb.nl. Door bijwerkingen te melden helpt u ons aan meer informatie over de veiligheid van dit medicijn.

Meld alle vermoede bijwerkingen met betrekking tot Libmeldy ook bij Orchard Therapeutics via e-mail naar drugsafety@orchard-tx.com.

Noem ook het partijnummer van het geneesmiddel op deze kaart.