

Vägledning för hälso- och sjukvårdspersonal

Viktig information om CASGEVY®▼ (exagamglogen autotemcel)

Casgevy (exagamglogen autotemcel) är en genetiskt modifierad autolog CD34+ cellberikad population som innehåller humana hematopoetiska stam- och progenitorceller (HSPC) redigerade ex vivo med CRISPR/Cas9 i den erytroidspecifika enhancerregionen av BCL11A-genen.

CASGEVY är godkänt för följande indikationer:

- behandling av transfusionsberoende betatalassemi (TDT) hos patienter i åldern 12 år och äldre för vilka hematopoetisk stamcellstransplantation (HSCT) är lämplig och ingen HLA-matchad besläktad donator av hematopoetiska stamceller är tillgänglig
- behandling av svår sicklecellsjukdom (SCD) hos patienter i åldern 12 år och äldre med återkommande vasookklusiva kriser (VOC) för vilka hematopoetisk stamcellstransplantation (HSCT) är lämplig och ingen HLA-matchad besläktad donator av hematopoetiska stamceller är tillgänglig.

Denna vägledning innehåller viktig information om följande risk(er) för patienter som behandlats med CASGEVY och om hur dessa risker kan minimeras:

- Fördröjd trombocyt engraftment (viktig identifierad risk)
- Potentiellt misslyckad neutrofil engraftment (viktig eventuell risk)
- Genredigeringsrelaterad onkogenes (viktig eventuell risk).

**Denna vägledning innehåller inte all information om läkemedlet.
Läs alltid produktresumén för fullständig förskrivningsinformation.**

Se produktresumén för CASGEVY via sökfunktionen på lakemedelsverket.se eller skanna QR-koden för att komma direkt till sidan.



▼ Detta läkemedel är föremål för utökad övervakning. Detta kommer att göra det möjligt att snabbt identifiera ny säkerhetsinformation. Hälso- och sjukvårdspersonal uppmanas att rapportera varje misstänkt biverkning till:

Läkemedelsverket, Box 26, 751 03 Uppsala
Webbplats: www.lakemedelsverket.se

Samt till Vertex Pharmaceuticals:
E-mail: Vertexmedicalinfo@vrtx.com eller tel: 020-98-0755

Patienter ska informeras om nytta-riskförhållandet för CASGEVY samt tillhandahållas vägledningen för patienter och vårdnadshavare och patientkortet när CASGEVY presenteras som ett behandlingsalternativ och innan patienten fattar beslut om behandling med CASGEVY. Se nedan för ytterligare information.

■ 1. Fördröjd trombocyt *engraftment*

a. Patientrådgivning

a. Information till patienten

Patienter ska informeras om att det tar längre tid för trombocytnivåerna att återställas, vilket kan öka risken för blödning, samt om tecken och symtom som kan tyda på blödning. Patienter ska rådask att uppsöka vård om de får tecken eller symtom på blödning.

Patienter och anhörigvårdare ska tillhandahållas vägledningen för patienter och anhörigvårdare och patientkortet vid tidpunkten för rådgivning (se avsnitt 4 nedan).

b. Övervakning och handläggning av patienten

Trombocytnivåerna ska övervakas och handläggas i enlighet med standardriktlinjerna och den medicinska bedömningen. Om patienten får tecken eller symtom på blödning ska bestämning av fullständig blodstatus samt andra lämpliga tester omedelbart övervägas.

■ 2. Misslyckad neutrofil *engraftment*

a. Information till patienten

Patienter ska informeras om den eventuella risken för misslyckad neutrofil *engraftment* efter behandling med CASGEVY och konsekvenserna därav (dvs. risker på grund av konditionering och möjliga långsiktiga risker, att de kan behöva en infusion med obehandlade CD34+-stamceller, att de inte får någon nytta av behandlingen med CASGEVY och att de skulle ha samma sjukdomsburda som för närvarande). Patienter ska också rådask att uppsöka vård om de får tecken eller symtom på låga nivåer av vita blodkroppar.

Patienter och anhörigvårdare ska tillhandahållas vägledningen för patienter och anhörigvårdare och patientkortet vid tidpunkten för rådgivning (se avsnitt 4 nedan).

b. Övervakning och handläggning av patienten

Patienter ska övervakas med avseende på absolut neutrofilantal och infektioner, och ska handläggas i enlighet med standardriktlinjerna och den medicinska bedömningen. I händelse av misslyckad neutrofil *engraftment* måste patienterna få infusion med omodifierade CD34+-räddningsceller.

■ 3. Genredigeringsrelaterad onkogenes

a. Information till patienten

Patienter ska informeras om att även om det inte har förekommit några rapporter om hematologisk cancer som kan tillskrivas exagamglogen autotemcel i det kliniska programmet, så är genredigeringsrelaterad onkogenes en teoretisk risk. Patienter ska rådask att uppsöka vård om de får tecken eller symtom på hematologisk malignitet i form av myelodysplasi, leukemi eller lymfom.

Patienter och anhörigvårdare ska tillhandahållas vägledningen för patienter och anhörigvårdare och patientkortet vid tidpunkten för rådgivning (se avsnitt 4 nedan).

b. Övervakning och handläggning av patienten

Patienter ska övervakas årligen (inklusive fullständig blodstatus) och handläggas i enlighet med standardriktlinjerna och den medicinska bedömningen. Om blod- och benmärgsprover tas för att diagnostisera en hematologisk malignitet, ska sjukvårdspersonal ta ytterligare prover som ska analyseras av innehavaren av godkännandet för försäljning i syfte att bedöma kopplingen mellan maligniteten och behandlingen med CASGEVY, i den händelse att en malignitet bekräftas. Kontakta den lokala representanten för innehavaren av godkännandet för försäljning för att få ytterligare anvisningar.

■ 4. Viktigt material för patienter och/eller anhörigvårdare

a. Vägledning för patienter och anhörigvårdare

Denna vägledning innehåller information om risken för fördröjd trombocyt *engraftment*, eventuella risken vid misslyckad neutrofil *engraftment*, den eventuella risken för genredigeringsrelaterad onkogenes samt om den långsiktiga observationsstudien och vikten av att delta i den (se avsnitt 5 nedan). Vägledningen innehåller också information om att patienten kommer att få ett patientkort (se avsnitt 4b nedan).

Uppmana patienter och vårdnadshavare att läsa vägledningen noga och säkerställ att du eller annan sjukvårdspersonal med utbildning i att använda CASGEVY kan svara på eventuella frågor.

b. Patientkort

Patienten ska rådask att alltid ha med sig kortet och visa det för en läkare eller sjuksköterska/ sjukvårdspersonal vid alla läkarbesök efter behandlingen med CASGEVY. Kortet fungerar som en påminnelse för patienten att lämna de blodprover som läkaren föreskriver och att uppsöka vård vid tecken eller symtom på låga nivåer av trombocyter, låga nivåer av vita blodkroppar eller hematologisk malignitet.

■ 5. Långsiktig observationsstudie

De långsiktiga effekterna av CASGEVY är ännu inte kända. Därför genomför Vertex en registerbaserad studie för att följa upp patienter som har fått behandling med CASGEVY. Detta är en icke-interventionell observationsstudie, vilket innebär att patienterna följs upp och behandlas i enlighet med kliniska standardriktlinjer. Studiens protokoll innehåller inga undersökningar eller besök. Du har fått information om den här studien som en del av din utbildning. Du kommer att få ytterligare information om studien innan rekryteringsperioden inleds.

Tala med dina patienter om vikten av att delta i denna 15-åriga registerbaserade studie av de långsiktiga effekterna av CASGEVY.



Vertex Pharmaceuticals AB
Torsgatan 13 | 111 23 Stockholm
Telefon 08-505 267 50