

Vägledning för patienter och vårdnadshavare

Viktig information om CASGEVY®▼ (exagamglogen autotemcel)

CASGEVY (exagamglogen autotemcel) är en genterapi som kan användas för att behandla:

- personer över 12 års ålder med betatalassemi som behöver regelbundna blodtransfusioner
- personer över 12 års ålder med sicklecellsjukdom som har återkommande smärtsamma kriser (så kallade vasoocklusiva kriser).

Denna vägledning innehåller information om tre viktiga eventuella biverkningar med CASGEVY:

- Efter behandling med CASGEVY kan det ta längre tid för kroppen att bilda tillräckliga nivåer av blodplättar (trombocyter), vilket kan öka risken för blödning. Det beror på fördröjd inläkning av stamcellstransplantatet. Blodplättar är de blodkroppar som fäster vid varandra för att stoppa blödningar.
- Potentiell risk att nivåerna av neutrofiler inte återställs i kroppen efter behandling med CASGEVY. Det beror på misslyckat inläkning av stamcellstransplantatet vilket medför brist på neutrofiler. Neutrofiler är en typ av vita blodkroppar som skyddar kroppen från infektioner. Risken för infektioner ökar om nivåerna av dessa celler inte kan återställas.
- En teoretisk risk för att utveckla blodcancer efter att ha fått genterapi, till exempel med CASGEVY.

Denna vägledning innehåller inte all information om CASGEVY. Läs bipacksedeln och tala med din läkare för att få mer information.

▼ **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 till:**

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

1.Ordlista

Stamceller	En särskild sorts celler som kan utvecklas till många olika typer av celler, till exempel blodkroppar..
Blodstamceller	En typ av stamceller som finns i benmärgen och som kan utvecklas till röda blodkroppar, blodplättar eller vita blodkroppar. Stamcellerna du får kallas stamcellstransplantatet.
Blodplättar	Blodkroppar som fäster vid varandra för att stoppa blödningar.
Vita blodkroppar	Blodkroppar som ingår i immunförsvaret. De hjälper till att skydda kroppen från infektioner.
Neutrofiler	En typ av vita blodkroppar.
Röda blodkroppar	En typ av blodkroppar som transporterar syre i kroppen. .

2. Viktiga biverkningar

Efter att du har fått CASGEVY kommer du att ha färre blodkroppar till dess att CASGEVY får fäste i benmärgen. Det innebär att du inledningsvis kommer att ha en förhöjd risk för blödning (på grund av lågt antal blodplättar) eller infektion (på grund av lågt antal neutrofiler) till dess att nivåerna av dessa blodkroppar återställs. Medan du är kvar på sjukhuset kommer läkaren att övervaka dina blodkropps-nivåer, inklusive blodplättar och neutrofiler (vita blodkroppar), genom regelbundna blodprover. Du kommer att få stanna på sjukhuset tills dina neutrofiler har återgått till en nivå där din kropp klarar att bekämpa infektioner.

Tala genast om för läkaren om du får några symtom på infektion, även sådana som inte anges här:

- feber
- frossa
- andra tecken på infektion, till exempel:
 - halsont
 - hosta eller andnöd
 - smärta eller en brännande känsla vid urinering eller behov av att urinera ofta
 - diarré

Det finns en risk att nivåerna av neutrofiler inte återställs i kroppen efter behandling med CASGEVY. Om det skulle hända kan det bli nödvändigt att återföra dina egna obehandlade stamceller (räddningsceller) som skördades och förvarades innan du fick CASGEVY. I sådant fall kommer du inte att ha någon nytta av behandlingen med CASGEVY, men du är fortfarande exponerad för eventuella långsiktiga risker.

När du lämnar sjukhuset kanske dina blodplättar fortfarande inte har återgått till normala nivåer. Efter behandling med CASGEVY kan det ta längre tid för kroppen att bilda tillräckliga nivåer av blodplättar. Läkaren kommer att fortsätta att övervaka dina blodplättsnivåer genom blodprover efter att du har skrivits ut från sjukhuset. Innan dess att dina blodplättar har återgått till en normal nivå har du en ökad risk för blödning. Det är mycket viktigt att du är uppmärksam på eventuella symtom som kan bero på blödning.

Tala genast om för läkaren om du får några symtom på blödning, även sådana som inte anges här:

- onormala blåmärken
- långvarig blödning
- kraftig huvudvärk
- blödning utan skada, till exempel:
 - näsblod
 - blödande tandkött
 - blod i urin, avföring eller kräkningar
 - blodig hosta

Det finns en teoretisk risk för att utveckla blodcancer efter att ha fått genterapi, till exempel med CASGEVY. Inga fall av blodcancer hos patienter som behandlats med CASGEVY har påvisats i kliniska prövningar. Läkaren kommer att övervaka dig årligen.

Tala genast om för läkaren om du får något av följande tecken på blodcancer:

- utmattning
- oförklarlig feber
- nattliga svettningar
- oförklarlig viktnedgång
- återkommande infektioner
- andnöd
- svullna lymfkörtlar

3. Patientkort

Patientkortet fungerar som en påminnelse om de risker med CASGEVY som beskrivs i avsnitt 2 ovan. Det användas också för att informera andra läkare och sjuksköterskor som du träffar om att du har fått behandling med CASGEVY. Ha alltid med dig kortet och visa det för all sjukvårdspersonal som du träffar. Informationen på kortet kan hjälpa läkare och sjuksköterskor att fatta beslut om din medicinska vård.

■ 4. Långtidsstudie med CASGEVY

Det finns begränsad information om de långsiktiga effekterna av CASGEVY. Därför har vi inlett en studie för att under 15 år följa patienter som har fått CASGEVY. Det är viktigt att delta i den här studien så att vi kan ta reda på mer om de långsiktiga effekterna av CASGEVY.

Om du väljer att delta i studien kommer **du inte** att behöva genomgå några ytterligare tester, behandlingar eller läkarbesök utöver dina vanliga. Om du väljer att inte delta i studien **kommer ditt beslut inte att påverka den vård du får**, och din läkare kommer att fortsätta att behandla dig på det sätt som är bäst för dig. Tala med den läkare som behandlade dig med CASGEVY om du vill veta mer om studien.



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