

Leitfaden für Patienten und ihre Betreuungspersonen

Wichtige Informationen zu CASGEVY®▼ (Exagamglogene autotemcel)

Der Wirkstoff von CASGEVY® heißt Exagamglogene autotemcel. Nachfolgend wird der Markenname Casgevy verwendet.

Dieser Leitfaden wurde als verpflichtender Teil der Zulassung dieses Arzneimittels erstellt und mit der zuständigen Bundesoberbehörde, Paul-Ehrlich-Institut (PEI), abgestimmt. Er soll als zusätzliche risikominimierende Maßnahme sicherstellen, dass Patienten und Betreuungspersonen mit den Besonderheiten der Anwendung von Casgevy vertraut sind und dadurch das mögliche Risiko für schwerwiegende Nebenwirkungen reduziert wird.



Casgevy ist eine Gentherapie, die angewendet wird zur Behandlung von:

- Patienten/Patientinnen ab 12 Jahren mit Beta-Thalassämie, die regelmäßige Bluttransfusionen benötigen
- Patienten/Patientinnen ab 12 Jahren mit Sichelzellerkrankung, die häufig wiederkehrende Schmerzkrisen haben (sogenannte vaso-okklusive Krisen oder VOC).

Dieser Leitfaden klärt über drei wichtige potenzielle Nebenwirkungen von Casgevy auf:

- Verzögerte Bildung einer ausreichenden Menge von Blutplättchen im Körper nach der Behandlung mit Casgevy, wodurch sich das Blutungsrisiko erhöhen kann (auch bezeichnet als verzögertes Thrombozyten-Engraftment/Anwachsen). Blutplättchen sind die Blutzellen, die für die Blutgerinnung zuständig sind.
- Es besteht die Möglichkeit, dass sich spezielle weiße Blutzellen (neutrophile Zellen) nach der Behandlung mit Casgevy im Körper nicht mehr oder nicht so gut regenerieren können (auch bezeichnet als Versagen des Neutrophilen-Engraftments/Anwachsens). Die neutrophilen Zellen sind eine spezielle Art der weißen Blutzellen, die den Körper vor Infektionen schützen. Wenn sich diese Zellen im Körper nicht mehr regenerieren, besteht ein erhöhtes Infektionsrisiko.
- Nach einer Gentherapie mit Casgevy besteht die theoretische Möglichkeit, dass Blutkrebs auftreten könnte.

Dieser Leitfaden enthält nur die wichtigsten Informationen über Casgevy. Für ausführlichere Informationen lesen Sie bitte die Gebrauchsinformation und fragen Sie Ihren Arzt.

▼ Dieses Arzneimittel unterliegt einer zusätzlichen Überwachung. Dies ermöglicht eine schnellere Identifizierung neuer Erkenntnisse zur Sicherheit des Arzneimittels. Sie können dabei helfen, indem Sie jede auftretende Nebenwirkung melden an:

Bundesinstitut für Impfstoffe und biomedizinische Arzneimittel, Paul-Ehrlich-Institut,
Paul-Ehrlich-Straße 51–59, 63225 Langen, Telefon: 06103 77 0, Fax: 06103 77 1234,
E-Mail: biovigilance@pei.de, Webseite: www.pei.de

oder

den Medical Information Service von **Vertex Pharmaceuticals (Germany) GmbH**
Telefon: 0800 7235 282, E-Mail: vertexmedicalinfo@vrtx.com

1. Begriffserklärungen

Stammzellen	Eine spezielle Zellart, die sich zu vielen verschiedenen Zellarten weiterentwickeln kann, u.a. zu Blutzellen.
Blutstammzellen	Eine spezielle Art von Stammzellen, die im Knochenmark vorkommen und sich zu roten Blutzellen, Blutplättchen oder weißen Blutzellen entwickeln können.
Blutplättchen	Blutzellen, die verkleben, und damit zur Blutstillung beitragen.
Weißer Blutzellen	Blutzellen, die Teil des Immunsystems sind. Sie sind wichtig für die Infektionsabwehr des Körpers.
Neutrophile Zellen	Eine spezielle Art von weißen Blutzellen.
Rote Blutzellen	Eine spezielle Art von Blutzellen, die für den Sauerstofftransport im Körper zuständig sind.
Engraftment	Anwachsen oder Einwachsen eines Transplantats.

2. Wichtige Nebenwirkungen

Nach der Infusion von Casgevy haben Sie zunächst weniger weiße und rote Blutzellen sowie Blutplättchen in Ihrem Körper, bis Casgevy sich in Ihrem Knochenmark etabliert hat. Das bedeutet, dass Sie z. B. zunächst ein höheres Blutungsrisiko haben werden (aufgrund der niedrigen Zahl an Blutplättchen) oder ein höheres Infektionsrisiko (aufgrund der niedrigen Zahl an neutrophilen Zellen), bis sich diese Zellen wieder erholt haben.

Während Sie im Krankenhaus sind, wird Ihr Arzt/Ihre Ärztin Ihre Blutwerte, einschließlich Blutplättchen und neutrophilen Zellen (weiße Blutzellen), mithilfe regelmäßiger Blutuntersuchungen überwachen. Sie werden im Krankenhaus bleiben, bis Ihre neutrophilen Zellen sich soweit erholt haben, dass sie eine Infektion bekämpfen können.

Wenden Sie sich sofort an Ihren Arzt/Ihre Ärztin, wenn Sie Symptome einer Infektion feststellen, auch wenn diese hier nicht aufgeführt sind:

- Fieber
- Schüttelfrost
- **Andere Anzeichen einer Infektion, wie z. B.:**
 - ◆ Halsschmerzen
 - ◆ Husten oder Kurzatmigkeit
 - ◆ Schmerzen oder Brennen beim Harnlassen oder häufiger Harndrang
 - ◆ Durchfall

Es besteht die Möglichkeit, dass die neutrophilen Zellen sich nach der Behandlung mit Casgevy nicht mehr im Körper regenerieren können. Wenn dies der Fall ist, müssen Ihrem Körper unter Umständen eigene unbehandelte Stammzellen (Reservezellen) zugeführt werden, die Ihnen vor der Behandlung mit Casgevy sicherheitshalber entnommen und aufbewahrt wurden. In diesem Fall verliert die Behandlung mit Casgevy ihre Wirksamkeit, so dass Sie in gleicher Weise wie vor der Behandlung mit Casgevy behandelt werden müssen. Trotzdem bleiben jedoch die möglichen langfristigen Risiken der Behandlung bestehen und erfordern daher weiterhin eine langfristige Nachbeobachtung.

Es kann sein, dass sich die Zahl Ihrer Blutplättchen zum Zeitpunkt Ihrer Entlassung aus dem Krankenhaus noch nicht normalisiert hat, da es nach der Behandlung mit Casgevy längere Zeit dauern kann, bis Ihr Körper wieder in ausreichender Menge Blutplättchen bildet. Ihr Arzt/Ihre Ärztin wird Ihre Blutplättchenzahl nach Ihrer Entlassung aus dem Krankenhaus mithilfe von Blutuntersuchungen überwachen. Solange sich Ihre Blutplättchen noch nicht ausreichend erholt haben, besteht ein Blutungsrisiko. Deshalb ist es sehr wichtig, dass Sie auf Symptome achten, die auf eine Blutung hindeuten können.

Wenden Sie sich sofort an Ihren Arzt/Ihre Ärztin, wenn Sie Symptome einer Blutung feststellen, auch wenn diese hier nicht aufgeführt sind:

- Abnormale Blutergüsse
- Länger anhaltende Blutungen
- Starke Kopfschmerzen
- **Ohne Verletzung auftretende Blutungen, wie z. B.:**
 - ◆ Nasenbluten
 - ◆ Zahnfleischbluten
 - ◆ Blut im Urin, Stuhl oder im Erbrochenen
 - ◆ Aushusten von Blut

Nach einer Gentherapie mit z.B. Casgevy besteht theoretisch die Möglichkeit, dass Blutkrebs entsteht. Bisher sind keine Fälle von Blutkrebs bei Patienten, die mit Casgevy in klinischen Studien behandelt wurden, aufgetreten. Zur Überwachung Ihres Blutbildes wird Ihr Arzt/Ihre Ärztin jährliche Kontrolluntersuchungen bei Ihnen durchführen.

Wenden Sie sich sofort an Ihren Arzt/Ihre Ärztin, wenn Sie eines der folgenden Anzeichen für Blutkrebs feststellen:

- Ermüdung,
- Abgeschlagenheit,
- Schwäche
- Unerklärliches Fieber
- Nachtschweiß
- Unerklärlicher Gewichtsverlust
- Häufige Infektionen
- Kurzatmigkeit
- Lymphknotenschwellung

■ 3. Patientenpass

Der Patientenpass dient Ihnen als Erinnerung an die in Abschnitt 2 beschriebenen Risiken von Casgevy. Außerdem soll er bei jedem Arztbesuch den Arzt/die Ärztin oder das medizinische Fachpersonal darüber informieren, dass Sie mit Casgevy behandelt wurden. Tragen Sie den Patientenpass stets bei sich und zeigen Sie ihn bei jedem Arztbesuch vor. Die Informationen im Patientenpass können Ihrem Arzt/Ihrer Ärztin oder dem medizinischen Fachpersonal bei ihren Entscheidungen über Ihre medizinische Versorgung helfen.

■ 4. Langzeitstudie mit Casgevy

Zur Zeit stehen nur begrenzte Informationen über die Langzeitwirkungen von Casgevy zur Verfügung. Deshalb sollen in einer Studie, Patienten, die Casgevy erhalten haben, für 15 Jahre nachbeobachtet werden. Es ist für Sie und andere Patienten wichtig, dass Sie an dieser Studie teilnehmen, damit Erkenntnisse über die Langzeitwirkungen von Casgevy gewonnen werden können.

Wenn Sie an dieser Studie teilnehmen, sind für Sie **keine** zusätzlichen Untersuchungen, Behandlungen oder Arztbesuche erforderlich, die über Ihre routinemäßigen Untersuchungen, Behandlungen oder Arztbesuche hinausgehen. Wenn Sie nicht an der Studie teilnehmen möchten, **hat Ihre Entscheidung keinen Einfluss auf Ihre weitere Behandlung** und Ihr Arzt wird Sie weiterhin so behandeln, wie es den gültigen medizinischen Standards entspricht. Bitte sprechen Sie mit dem Arzt, der Sie mit Casgevy behandelt (hat), um mehr über die Studie zu erfahren.