



Veiledning for pasienter/ omsorgspersoner

HEMGENIX® (▼etranakogendezaparovvek)

▼ Dette legemidlet er underlagt særlig overvåking for å oppdage ny sikkerhetsinformasjon så raskt som mulig. Du kan bidra ved å melde enhver mistenkt bivirkning, se www.legemiddelverket.no/pasientmelding

Denne veiledningen er en obligatorisk del av godkjenningen av Hemgenix og er avtalt med Legemiddelverket.

Les nøye gjennom denne veiledningen for pasienter/omsorgspersoner før du begynner å bruke HEMGENIX®. Den inneholder informasjon som er viktig for deg.

I tillegg til denne veiledningen vil legen gi deg et pasientkort. Les det grundig og følg instruksjonene som står på det.

Pasientkort
HEMGENIX®
(etranakogendezaparvovek)

Sikkerhetsinformasjon

 Etter krav fra
Statens legemiddelverk

Pasientens navn: _____

Dato for HEMGENIX®-administrasjon: _____

**Ha alltid dette kortet med deg etter at du har blitt
behandlet med HEMGENIX®, og vis det til alle som gir deg
medisinsk behandling, som leger og/eller sykepleiere.**

NOR-HGX-0004 (1) /2023

Ha alltid pasientkortet med deg, og vis det ved ethvert besøk hos leger og annet helsepersonell. Pasientkortet inneholder viktig informasjon om din sikkerhet relatert til oppfølgingen av dette legemidlet, som du og helsepersonell som behandler deg, må kjenne til før de hjelper deg.

Hvilken informasjon inneholder denne veiledningen for pasienter/omsorgspersoner?

1. Hva er HEMGENIX® og hva brukes det mot?	4
2. Hvordan virker HEMGENIX®?	4
3. Hva du må vite før du gis HEMGENIX®	4
a. Leverhelse	5
b. Unormal blodkoagulering (tromboemboliske hendelser).....	6
c. Risiko for malignitet som potensielt er forbundet med HEMGENIX®	7
d. Overføring av HEMGENIX®	7
e. Utvikling av FIX-hemmere.....	8
f. Eksisterende immunitet mot vektoren	8
g. Respons på behandlingen	8
4. Langsiktig oppfølging etter behandling med HEMGENIX®	9
5. Hva er pasientkortet til?	10
6. Hva skal jeg gjøre hvis jeg har mistanke om en bivirkning?	11
7. Ytterligere informasjon	11

1. Hva er HEMGENIX® og hva brukes det mot?

HEMGENIX® er et genterapeutisk legemiddel som inneholder virkestoffet etranakogendezaparvovek.

Personer med hemofili B er født med en endring i et gen som er nødvendig for å produsere faktor IX, et viktig protein som er nødvendig for blodkoagulering og stansing av blødning. Personer med hemofili B har for lavt nivå av faktor IX og er utsatt for indre eller ytre blødninger.

HEMGENIX® brukes til behandling av alvorlig og moderat alvorlig hemofili B (medfødt mangel på faktor IX) hos voksne som ikke har / har hatt antistoffer mot faktor IX-protein (faktor IX-hemmere).

2. Hvordan virker HEMGENIX®?

Virkestoffet i HEMGENIX® er basert på et virus som ikke forårsaker sykdom hos mennesker. Viruset er endret slik at det ikke spres i kroppen, men bare avleverer en kopi av faktor IX-genet i levercellene. Da kan leveren produsere faktor IX-proteinet, og nivået av faktor IX i blodet øker. Det gjør at blodet koagulerer mer normalt og hindrer eller reduserer blødningsepisoder.

3. Hva du må vite før du gis HEMGENIX®

Det er viktig at du fullt ut forstår nytten og risikoene ved HEMGENIX®-behandling, hva som er kjent og hva som ennå ikke er kjent om de langsiktige effektene av denne behandlingen, relatert til både sikkerhet og virkning. I avsnittene nedenfor finner du viktig informasjon om HEMGENIX®-behandling. Les den grundig, og spør lege eller sykepleier hvis du har flere spørsmål.

a. Leverhelse

FØR BEHANDLING MED HEMGENIX®

For å avgjøre om dette legemidlet er egnet for deg, vil legen sjekke leverhelsen din før du starter behandling med HEMGENIX®, og vil utføre:

- Blodprøver for å sjekke nivået av leverenzymmer i blodet ditt
- Ultralyd av lever
- Elastografi-undersøkelse for å sjekke om du har arrvev eller fortykket vev i leveren.

ETTER BEHANDLING MED HEMGENIX®

Etter behandling med HEMGENIX® vil legen fortsette å sjekke helsen din. Det er **viktig** at du **snakker med legen din om planen for disse blodprøvene**, siden det er nødvendig at de blir tatt.

HEMGENIX® vil trigge en respons fra immunsystemet ditt som kan føre til forhøyet blodnivå av visse leverenzymmer som kalles transaminaser (transaminitt). **Legen vil jevnlig sjekke nivået av leverenzymmer** for å forsikre seg om at medisinen virker som den skal:

De første 3 månedene: Minst én gang per uke	Fra måned 4 og i opptil ett år: Hver 3. måned	2. år: Hver 6. måned	Etter 2. år: Én gang i året i minst 5 år
---	---	--------------------------------	--



- Hvis du får forhøyede leverenzymmer, kan det hende det må tas blodprøver oftere for å sjekke nivået av leverenzymmer, inntil det er tilbake på normalt nivå.
- Det kan også hende at du må ta et annet legemiddel (f.eks. kortikosteroid) for å håndtere denne bivirkningen.
- Du må informere helsepersonell dersom du allerede behandles med kortikosteroider eller andre immunundertrykkende midler. Hvis du ikke kan bruke kortikosteroider, kan legen anbefale alternative legemidler for å håndtere leverproblemer.
- Legen vil kanskje utføre ytterligere tester for å utelukke andre årsaker til økningen i leverenzymmer, om nødvendig, etter konsultasjon med en lege som er spesialist i leversykdommer.

Både før og etter behandling, anbefales det at du **ikke tar legemidler som kan forårsake leverskade. Snakk med lege eller sykepleier dersom du bruker, nylig har brukt eller planlegger å bruke andre legemidler.** Dersom du tar legemidler man vet kan skade leveren (levertoksiske legemidler), vil kanskje legen bestemme at du skal stanse den behandlingen slik at du kan få HEMGENIX®.

b. Unormal blodkoagulering (tromboemboliske hendelser)

Pasienter med hemofili B har vanligvis redusert risiko for tromboemboliske hendelser (f.eks. blodpropp i lunger eller vener) på grunn av en medfødt feil i blodkoaguleringen.

Gjenoppretting av faktor IX-aktiviteten kan utsette deg for en mulig risiko for tromboembolisme, som i den generelle befolkningen som ikke har hemofili.

Dersom du har eksisterende risikofaktorer for tromboemboliske hendelser, f.eks. at du har/har hatt hjerte-/karsykdom eller kardiometabolsk sykdom, arteriosklerose, høyt blodtrykk, diabetes eller høy alder, kan risikoen for blodpropp være høyere.

Vær oppmerksom på tegn på unormal blodkoagulering.

Tegn på unormal blodkoagulering kan være:

Plutselige brystmerter, kortpustethet, plutselig muskelsvakhet, tap av følelse og/eller balanse, redusert årvåkenhet, talevansker eller hevelse i ett eller begge ben.



Dersom du oppdager tegn på unormal blodkoagulering

**Informér
legen din
umiddelbart**

c. Risiko for malignitet som potensielt er forbundet med HEMGENIX®

HEMGENIX® vil opptas i leverceller og kan muligens opptas i levercellenes DNA eller DNA-et i andre kroppsceller. HEMGENIX® kan derfor bidra til en risiko for kreft, som leverkreft (levercellekarsinom). Selv om det ikke er noen tegn på at dette har skjedd i de kliniske studiene som hittil er utført, er det likevel en mulighet for dette pga. egenskapene til legemidlet, som har en viruskomponent. Du bør derfor diskutere dette med legen din.

- Hvis du er en pasient som har risikofaktorer for levercellekarsinom, vil legen din **regelmessig (f.eks. årlig) sjekke den langsiktige leverhelsen din i minst 5 år etter administrering av HEMGENIX®** og vil utføre følgende tester:

- årlig ultralydundersøkelse og
- årlige blodprøver for å sjekke eventuell økning av såkalt alfa-fetoprotein.

Noen risikofaktorer for levercellekarsinom er:

- leverfibrose (arrdannelse og fortykkelse i leveren)
- har eller har hatt hepatitt B, hepatitt C
- fettlever (ikke-alkoholisk fettleversykdom (NAFLD))
- drikker mye alkohol

- Hvis du får kreft, vil legen din ta en prøve av kreftvevet (biopsi) for å sjekke om HEMGENIX® har blitt tatt opp i cellenes DNA.

d. Overføring av HEMGENIX®

Virkestoffet i HEMGENIX® kan i en overgangsperiode bli utskilt via blod, sæd, brystmelk eller kroppssekreter – en prosess som kalles spredning eller “shedding”.

For å sikre at personer som ikke har hemofili B, ikke blir eksponert for HEMGENIX®-DNA via spredning fra din kropp og/eller din sæd, **har du ikke lov til å donere blod, sæd eller organer, vev og celler til transplantasjon etter at du er behandlet med HEMGENIX®.**

Etter at en mannlig pasient er behandlet med HEMGENIX®, må pasienten og eventuell kvinnelig partner **unngå graviditet i 12 måneder**. Dere må bruke **effektiv prevensjon** (f.eks. barriereprevensjon som kondom eller pessar). Det er for å forebygge den teoretiske risikoen for at faktor IX-genet fra faren overføres til fosteret etter behandlingen med HEMGENIX®. Dette har ukjente konsekvenser. Av samme grunn skal mannlige pasienter ikke donere sæd. **Snakk med legen din om hvilke prevensjonsmetoder som er egnet.**

Behandling med HEMGENIX® anbefales ikke hos kvinner som er gravide eller kan bli gravide.

e. Utvikling av FIX-hemmere

Nøytraliserende antistoffer mot faktor IX-proteiner (faktor IX-hemmere) kan gjøre at HEMGENIX® ikke virker skikkelig.

Legen din vil kanskje sjekke blodet ditt for slike FIX-hemmere hvis blødningene dine ikke blir kontrollert eller kommer tilbake etter at du har fått HEMGENIX®.

f. Eksisterende immunitet mot vektoren

Noen kan ha naturlig eksisterende «immunitet» (dvs. antistoffer) mot adeno-assosiert virus-vektorer (AAV-vektorer) som brukes i genterapi – dette kan hindre den genetiske informasjonen i å bli effektivt levert.

Høy eksisterende immunitet mot vektoren kan redusere effekten av HEMGENIX®.

Før behandling med HEMGENIX® skal det derfor sjekkes om du har eksisterende nøytraliserende anti-AAV5-antistoffer i kroppen.

g. Respons på behandlingen

Det er en mulighet for at ikke alle pasienter har nytte av behandling med HEMGENIX®.

Pasienter som ikke responderer er likevel utsatt for langsiktige risikoer.

Det vil ikke bli planlagt ny behandling med HEMGENIX® dersom du ikke responderer på behandlingen eller dersom responsen blir borte.

4. Langsiktig oppfølging etter behandling med HEMGENIX®

Den langsiktige effekten og sikkerheten til HEMGENIX® er fremdeles ukjent.

Etter behandling med HEMGENIX® **forventer vi derfor at du blir opptatt i en oppfølgingsstudie der man i 15 år skal studere den langsiktige sikkerheten ved behandlingen, hvor godt den fortsatt virker og eventuelle bivirkninger som kan være forbundet med behandlingen.**

Vi anbefaler at du snakker med legen din for å få mer informasjon om oppfølgingsstudien før behandling med HEMGENIX®.

5. Hva er pasientkortet til?

Pasientkortet inneholder viktig sikkerhetsinformasjon som du og helsepersonell kan ha behov for å kjenne til **etter behandling med HEMGENIX®**.

Som forklart i denne veiledningen, må visse anbefalinger følges for sikker bruk av HEMGENIX®, og det er derfor helt nødvendig at du deler denne informasjonen med alt helsepersonell som behandler deg. Dette er formålet med pasientkortet.

Pasientkort
HEMGENIX®
(etranakogendezaparvovek)

Sikkerhetsinformasjon  Etter krav fra
Statens legemiddelverk

Pasientens navn: _____

Dato for HEMGENIX®-administrasjon: _____

Ha alltid dette kortet med deg etter at du har blitt behandlet med HEMGENIX®, og vis det til alle som gir deg medisinsk behandling, som leger og/eller sykepleiere.

NOR-HGX-0004 ID/2023

- Legen din skal gi deg et HEMGENIX® pasientkort den dagen du behandles med HEMGENIX®
- Ha det alltid med deg – du kan ha det i lommeboken eller vesken
- Vis frem pasientkortet hver gang du har en time hos en lege eller sykepleier
- Hvis du må til legevakten, må du vise det frem straks du kommer dit
- Du må fortelle omsorgspersonen din, eller andre som står deg nær, om behandlingen, og du må vise dem pasientkortet fordi de kan oppdage bivirkninger som du ikke er oppmerksom på

Dette kortet gir deg dessuten en viktig påminnelse om risikoer som kan oppstå.

6. Hva skal jeg gjøre hvis jeg har mistanke om en bivirkning?

Kontakt lege eller sykepleier dersom du opplever bivirkninger. Dette gjelder også bivirkninger som ikke er nevnt i denne veiledningen for pasienter/omsorgspersoner. Bivirkninger kan meldes på elektronisk skjema til Legemiddelverket: www.legemiddelverket.no/pasientmelding

Ved å melde fra om bivirkninger bidrar du med informasjon om sikkerheten ved bruk av dette legemidlet.

7. Ytterligere informasjon

Denne veiledningen og andre dokumenter er utviklet som en del av risikominimeringsplanen for HEMGENIX® og kan lastes ned fra nettstedet til CSL Behring: www.cslbehring.no/produkter/hemgenix/opplaeringsmaterieell

Dersom du ønsker mer informasjon, kan du lese pakningsvedlegget til HEMGENIX®, som er tilgjengelig på nettstedet til Det europeiske legemiddelkontoret (the European Medicinal Agency) (www.ema.europa.eu/) og Felleskatalogen.no

Kontaktinformasjon

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

Pasientens notater:

[illegible]