

B. FOGLIO ILLUSTRATIVO

Agenzia Italiana del Farmaco

Foglio illustrativo: informazioni per l'utilizzatore

Hemgenix 1 x 10¹³ copie-genoma/mL concentrato per soluzione per infusione etranacogene dezaparvovec

▼ Medicinale sottoposto a monitoraggio addizionale. Ciò permetterà la rapida identificazione di nuove informazioni sulla sicurezza. Lei può contribuire segnalando qualsiasi effetto indesiderato riscontrato durante l'assunzione di questo medicinale. Vedere la parte finale del paragrafo 4 per informazioni sulle modalità di segnalazione degli effetti indesiderati.

Legga attentamente questo foglio prima di prendere questo medicinale perché contiene informazioni importanti per Lei.

- Conservi questo foglio. Potrebbe aver bisogno di leggerlo di nuovo.
- Se ha qualsiasi dubbio si rivolga al medico o all'infermiere.
- Se si manifesta un qualsiasi effetto indesiderato, compresi quelli non elencati in questo foglio, si rivolga al medico o al farmacista. Vedere paragrafo 4.
- Il medico le consegnerà una scheda paziente. La legga attentamente e segua le istruzioni riportate.

Contenuto di questo foglio

1. Che cos'è Hemgenix e a cosa serve
2. Cosa deve sapere prima di assumere Hemgenix
3. Come viene somministrato Hemgenix
4. Possibili effetti indesiderati
5. Come conservare Hemgenix
6. Contenuto della confezione e altre informazioni

1. Che cos'è Hemgenix e a cosa serve

Che cos'è Hemgenix e a cosa serve

Hemgenix è un medicinale di terapia genica che contiene il principio attivo etranacogene dezaparvovec. Un medicinale di terapia genica funziona somministrando un gene nel corpo per correggere un difetto genetico (alla nascita).

Hemgenix è usato per il trattamento dell'emofilia B (deficit congenito del fattore IX) grave e moderatamente grave in adulti che non hanno sviluppato, al momento della terapia o in passato, inibitori (anticorpi neutralizzanti) contro il fattore IX.

Le persone affette da emofilia B nascono con una forma alterata di un gene necessario per produrre il fattore IX, una proteina essenziale che permette la coagulazione del sangue e interrompe l'eventuale sanguinamento. Le persone affette da emofilia B hanno livelli insufficienti di fattore IX e sono soggette a episodi di sanguinamento (emorragie) interni o esterni.

Come funziona Hemgenix

Il principio attivo di Hemgenix è basato su un virus che non causa malattie nell'uomo. Questo virus è stato modificato in modo che non possa diffondersi nel corpo, ma possa trasportare (vettore) una copia del gene del fattore IX nelle cellule del fegato. Ciò consente al fegato di produrre la proteina fattore IX e di aumentare i livelli di fattore IX funzionante nel sangue. Questo aiuta il sangue a coagulare meglio e previene o riduce gli episodi di sanguinamento.

2. Cosa deve sapere prima di assumere Hemgenix

Non le deve essere somministrato Hemgenix:

- Se è allergico/a a etranacogene dezaparvovec o ad uno qualsiasi degli altri ingredienti di questo medicinale (elencati al paragrafo 6).
- Se soffre di un'infezione attiva che sia o acuta (insorta da poco tempo) o cronica (che dura da tempo) che non è controllata dai medicinali.
- Se il suo fegato non funziona correttamente a causa di fibrosi epatica avanzata (cicatrici e ispessimento) o cirrosi (cicatrici dovute a danni che persistono da molto tempo).

Se una delle condizioni sopra descritte la riguarda, o se non è sicuro di quanto sopra, parli con il medico prima di ricevere Hemgenix.

Avvertenze e precauzioni

Prima del trattamento con Hemgenix

Il medico le farà fare vari esami **prima** di darle Hemgenix.

Analisi degli anticorpi nel sangue

Il medico le farà fare esami del sangue per verificare la presenza di alcuni anticorpi prima del trattamento con Hemgenix, tra cui:

- Esami del sangue per verificare la presenza di anticorpi contro il fattore IX umano (inibitori del fattore IX).
Se il test per questi anticorpi è positivo, verrà eseguito un altro test entro circa 2 settimane. Se i risultati del primo e del secondo test saranno entrambi positivi, lei non potrà prendere Hemgenix.
- Esami del sangue per verificare la quantità di anticorpi contro il tipo di virus usato per produrre Hemgenix.

Stato di salute del fegato

Per decidere se questo medicinale è adatto a lei, il medico controllerà lo stato di salute del suo fegato prima di iniziare il trattamento con Hemgenix ed eseguirà:

- Esami del sangue per controllare il livello degli enzimi del fegato
- Un'ecografia del fegato
- Un'elastografia per verificare l'eventuale presenza di cicatrici o ispessimenti del fegato.

Durante o subito dopo l'infusione di Hemgenix

Il medico la monitorerà **durante o subito dopo** l'infusione di Hemgenix.

Reazioni correlate all'infusione

Gli effetti indesiderati correlati all'infusione possono verificarsi durante o subito dopo l'infusione di Hemgenix (fleboclisi). Il medico la monitorerà durante l'infusione di Hemgenix e per almeno 3 ore dopo la somministrazione di Hemgenix.

- I sintomi di tali effetti indesiderati sono elencati nel paragrafo 4 "Possibili effetti indesiderati".
Informi **immediatamente** il medico o l'infermiere se manifesta questi o altri sintomi durante o subito dopo l'infusione.
- A seconda dei sintomi, l'infusione può essere rallentata o interrotta. Se l'infusione viene interrotta, può essere riavviata a una velocità inferiore quando la reazione all'infusione si risolve. Il medico può anche valutare se le devono essere somministrati medicinali corticosteroidi (ad es., prednisolone o prednisone) per gestire la reazione all'infusione.

Dopo il trattamento con Hemgenix

Dopo il trattamento con Hemgenix, il medico continuerà a controllare il suo stato di salute. È **importante** che **discuta il programma di questi esami del sangue** con il medico in modo che possano essere eseguiti secondo quanto necessario.

Enzimi del fegato

Hemgenix innescherà una risposta del suo sistema immunitario che potrebbe portare ad un aumento dei livelli di alcuni enzimi del fegato nel sangue chiamati transaminasi (ipertransaminasemia). Il medico controllerà regolarmente i livelli degli enzimi del fegato per assicurarsi che il medicinale funzioni come deve:

- Almeno nei primi 3 mesi dopo l'infusione di Hemgenix, dovrà sottoporsi ad esami del sangue una volta alla settimana per monitorare i livelli degli enzimi del fegato.
- Se si verifica un aumento degli enzimi del fegato, è possibile che dovrà sottoporsi ad esami del sangue più frequenti per controllare i livelli di questi enzimi, fino a quando non ritornano alla normalità. Potrebbe anche essere necessario prendere un altro medicinale (ad esempio corticosteroidi) per gestire questi effetti indesiderati.
- Il medico potrebbe anche farle fare altri esami per escludere altre cause dell'aumento degli enzimi del fegato, se necessario, in consultazione con un medico esperto in malattie del fegato.

Il medico le farà ripetere gli esami degli enzimi del fegato col seguente schema:

- Dopo 4 mesi dall'infusione di Hemgenix, ogni tre mesi fino a un anno;
- Nel secondo anno dopo l'infusione di Hemgenix, ogni sei mesi;
- Successivamente, annualmente per almeno 5 anni.

Livelli di fattore IX

Il medico le controllerà regolarmente i livelli di fattore IX per verificare se il trattamento con Hemgenix ha avuto successo.

- Almeno nei primi 3 mesi dopo la somministrazione di Hemgenix, dovrà sottoporsi ad esami del sangue una volta alla settimana per controllare i livelli di fattore IX.
- Il medico le farà ripetere questi esami:
- Dopo 4 mesi dall'infusione di Hemgenix, ogni tre mesi fino a un anno;
- Nel secondo anno dopo l'infusione di Hemgenix, ogni sei mesi;
- Successivamente, annualmente almeno per 5 anni.
- In caso di aumento degli enzimi del fegato o se si renderà necessario assumere un altro medicinale (ad esempio, corticosteroidi), o sarà sottoposto/a ad esami del sangue più frequenti per controllare i livelli di fattore IX, fino a quando gli enzimi del fegato non torneranno alla normalità o non smetterà di assumere il medicinale aggiuntivo.

Uso di altri trattamenti per l'emofilia

Dopo l'uso di Hemgenix, parli con il medico se o quando deve interrompere gli altri trattamenti per l'emofilia e predisporre un piano terapeutico per sapere cosa fare in caso di intervento chirurgico, trauma, sanguinamento o qualsiasi procedura che possa aumentare il rischio di sanguinamento. È molto importante continuare il monitoraggio e le visite con il medico per determinare se sia necessario o meno assumere altre terapie per gestire l'emofilia.

Coagulazione anomala del sangue (eventi tromboembolici)

Dopo il trattamento con Hemgenix, i livelli di proteina del fattore IX possono aumentare. In alcuni pazienti tali livelli potrebbero aumentare anche al di sopra della normalità per un certo periodo di tempo.

- Livelli insolitamente elevati di fattore IX possono causare una coagulazione anomala del sangue, aumentando il rischio di formazione di coaguli, ad es., nel polmone (tromboembolia polmonare) o in un vaso sanguigno della gamba (trombosi venosa o arteriosa). Questo rischio teorico è basso a causa del difetto genetico (alla nascita) di cui soffre.
- Tuttavia, lei può essere a rischio di coagulazione del sangue anomala se ha problemi preesistenti al cuore o ai vasi sanguigni (ad esempio, se ha avuto una malattia cardiaca (cardiovascolare) in passato, se ha le arterie spesse e rigide (arteriosclerosi), la pressione alta (ipertensione) o se è diabetico/a o ha più di 50 anni.
- Il medico le farà fare regolari esami del sangue per rilevare eventuali anomalie nei livelli di fattore IX, soprattutto se continuerà a prendere la terapia profilattica standard a base di fattore IX (terapia sostitutiva con fattore IX) dopo la somministrazione di Hemgenix (vedere anche il paragrafo 3 “Come usare Hemgenix”).
- Consulti immediatamente il medico se osserva segni di coagulazione anomali, come dolore toracico improvviso, difficoltà a respirare, insorgenza improvvisa di debolezza muscolare, perdita di sensazione e/o dell’equilibrio, minor prontezza di riflessi, difficoltà a parlare o gonfiore ad una o entrambe le gambe.

Evitare donazioni di sangue e donazioni per trapianti

Il principio attivo di Hemgenix può essere temporaneamente escreto (trovato) nel sangue, nello sperma, nel latte materno o nelle feci, attraverso un processo chiamato *shedding* (disseminazione) (vedere anche paragrafo 2 “Gravidanza, allattamento e fertilità”). Per assicurare che persone non affette da emofilia B non siano esposte a Hemgenix attraverso il processo di *shedding* nel suo corpo e/o nel suo sperma, non potrà donare sangue, sperma o organi, tessuti e cellule per trapianti dopo che è stato trattato con Hemgenix.

Pazienti immunocompromessi o pazienti con infezione da virus dell’immunodeficienza umana (HIV) o altra infezione

Se ha problemi al sistema immunitario (è immunocompromesso/a), se sta seguendo o seguirà una terapia che riduce l’efficienza del suo sistema immunitario o ha l’infezione da HIV o altre infezioni nuove o recenti, il medico deciderà se potrà ricevere Hemgenix.

Anticorpi neutralizzanti contro il fattore IX (inibitori del fattore IX)

Gli anticorpi neutralizzanti contro il fattore IX possono impedire a Hemgenix di funzionare correttamente. Il medico potrà farle fare degli esami del sangue per verificare la presenza di questi anticorpi, se sarà difficile tenere sotto controllo i suoi sanguinamenti, oppure se dovessero ripresentarsi dopo che le è stato somministrato Hemgenix (vedere anche paragrafo 3 “Come viene somministrato Hemgenix”).

Possibilità di ripetere la terapia genica in futuro

Dopo il trattamento con Hemgenix, il sistema immunitario produrrà anticorpi contro il vettore virale. Non è ancora noto se o in quali condizioni la terapia con Hemgenix possa essere ripetuta. Non è ancora noto se o in quali condizioni sia possibile fare un’altra terapia genica in futuro.

Rischio di sviluppare tumori potenzialmente associati a Hemgenix

- Hemgenix entrerà nelle cellule del suo fegato e potrebbe eventualmente inserirsi nel DNA delle cellule del fegato o nel DNA di altre cellule del corpo. Di conseguenza, Hemgenix potrebbe contribuire al rischio di sviluppare tumori, come il cancro al fegato (carcinoma epatocellulare). Anche se non vi è alcuna evidenza di questo negli studi clinici svolti finora, ciò resta possibile a causa della natura del medicinale. Pertanto, ne parli con il medico.

- Se lei ha fattori di rischio preesistenti per carcinoma epatocellulare (ad es., ha una fibrosi epatica (cicatrizzazione e ispessimento del fegato) o epatite B, epatite C, fegato grasso (steatosi epatica non alcolica (NAFLD)) o beve troppo alcool), il medico controllerà regolarmente (ad esempio, annualmente) lo stato di salute del suo fegato per un lungo periodo di tempo, ossia per almeno 5 anni dopo la somministrazione di Hemgenix, ed eseguirà i seguenti esami:
 - Ecografia del fegato annuale e
 - Analisi del sangue annuali per controllare gli aumenti della cosiddetta alfa-fetoproteina.
- Dopo il trattamento con Hemgenix è previsto che lei partecipi ad uno studio di monitoraggio della durata di 15 anni che servirà per verificare l'efficacia ed eventuali effetti indesiderati di Hemgenix a lungo termine. Qualora dovesse sviluppare un tumore, il medico potrà prelevarne un campione del tumore (biopsia) per controllare se Hemgenix si è integrato nel DNA delle sue cellule.

Bambini e adolescenti

Hemgenix non è stato studiato nei bambini o negli adolescenti di età inferiore ai 18 anni.

Altri medicinali e Hemgenix

Informi il medico o l'infermiere se sta assumendo, ha recentemente assunto o potrebbe assumere qualsiasi altro medicinale.

Se sta assumendo farmaci che sono noti per danneggiare il fegato, il medico può decidere che potrebbe essere necessario interrompere questo farmaco per essere in grado di ricevere Hemgenix.

Gravidanza, allattamento e fertilità

Non ci sono dati relativi all'uso di Hemgenix in donne con emofilia B.

Se è incinta o sospetta di esserlo o ha in programma una gravidanza oppure se sta allattando, chiedi consiglio al medico prima di prendere Hemgenix.

- Il trattamento con Hemgenix non è raccomandato nelle donne in età fertile. Non è ancora noto se Hemgenix possa essere usato in modo sicuro in queste pazienti poiché gli effetti sulla gravidanza e sul feto non sono noti.
- Hemgenix non deve essere usato durante la gravidanza. Non è noto se questo medicinale possa causare danni al feto quando viene somministrato alla madre in gravidanza.
- Hemgenix non deve essere usato durante l'allattamento. Non è noto se questo medicinale passi nel latte materno. Non può essere escluso un rischio per i neonati/lattanti.

Uso di contraccettivi per evitare la gravidanza della partner per un certo periodo di tempo

Se è paziente di sesso maschile trattato con Hemgenix, lei e le sue partner di sesso femminile dovete evitare gravidanze per 12 mesi. Lei e le sue partner di sesso femminile dovete usare un metodo contraccettivo efficace (ad es., contraccezione a barriera come profilattico o diaframma), per prevenire il rischio teorico che il gene del fattore IX derivante dal trattamento con Hemgenix del padre venga trasmesso a un figlio con conseguenze sconosciute.

Per lo stesso motivo, se è un paziente di sesso maschile non deve donare sperma (vedere anche paragrafo 2 "Avvertenze e precauzioni").

Parli con il suo medico per conoscere i metodi contraccettivi idonei.

Guida di veicoli e utilizzo di macchinari

Hemgenix non altera o altera in modo trascurabile la capacità di guidare veicoli o di usare macchinari. Poco dopo l'infusione di Hemgenix i pazienti hanno avuto capogiri, stanchezza e mal di testa transitori. Se ha avuto uno di questi effetti, eserciti le dovute cautele fino a quando non sia sicuro/a che Hemgenix non altera negativamente la sua capacità di guidare veicoli o di usare macchinari. Ne parli con il suo medico.

Hemgenix contiene sodio e potassio

- Il medicinale contiene 35,2 mg di sodio (componente principale del sale da tavola/cucina) in ogni flaconcino, che equivale all'1,8% della dose giornaliera massima di sodio raccomandata per un adulto.
- Questo medicinale contiene potassio nella quantità di meno di 1 mmol (39 mg) per flaconcino, dunque è essenzialmente privo di potassio.

3. Come viene somministrato Hemgenix

Hemgenix le sarà somministrato in ospedale sotto la guida di un medico esperto e addestrato nel trattamento dell'emofilia B.

Hemgenix le sarà somministrato **una sola volta** mediante una singola infusione lenta (fleboclisi) in una vena. L'infusione dura generalmente da 1 a 2 ore.

Il medico stabilirà la dose corretta per lei in base al suo peso corporeo.

Interruzione del trattamento con fattore IX esogeno (terapia sostitutiva)

- Dopo l'infusione di Hemgenix possono essere necessarie diverse settimane prima che il miglioramento del controllo dei sanguinamenti si manifesti e potrebbe essere necessario continuare la terapia sostitutiva con il fattore IX esogeno durante le prime settimane dopo l'infusione di Hemgenix.
- Il medico le farà fare regolari esami del sangue per controllare i livelli di attività del fattore IX; questi esami saranno eseguiti ogni settimana almeno nei primi 3 mesi e successivamente ad intervalli regolari, dopo di che si deciderà se e quando dovrà assumere, ridurre o interrompere la terapia con il fattore IX esogeno (vedere paragrafo 2).

Per qualsiasi domanda sull'uso di questo medicinale, si rivolga al medico.

4. Possibili effetti indesiderati

Come tutti i medicinali, questo medicinale può causare effetti indesiderati, sebbene questi non si manifestino in tutti i soggetti.

Negli studi clinici con Hemgenix sono stati osservati i seguenti effetti indesiderati.

Molto comune (può colpire più di 1 paziente su 10):

- cefalea (mal di testa)
- Aumento dei livelli degli enzimi del fegato nel sangue (aumento dell'alanina aminotransferasi, aumento dell'aspartato aminotransferasi)
- Sindrome simil-influenzale
- Aumento dei livelli di proteina C-reattiva, un marcatore di infiammazione
- Reazione correlata all'infusione (reazioni allergiche (ipersensibilità), reazione nel sito di infusione, capogiri, prurito oculare, arrossamento della pelle (vampate), dolore nella parte superiore dell'addome, eruzione cutanea pruriginosa (orticaria), fastidio al torace e febbre)

Comune (può colpire fino a 1 paziente su 10):

- Capogiro
- Nausea
- Stanchezza (affaticamento)
- Sensazione di malessere generalizzato
- Aumento dei livelli di bilirubina nel sangue, una sostanza gialla di degradazione dei globuli rossi
- Aumento dei livelli di creatina fosfochinasi nel sangue, un enzima (proteina) che si trova principalmente nel cuore, nel cervello e nel tessuto muscolare scheletrico

Segnalazione degli effetti indesiderati

Se si manifesta un qualsiasi effetto indesiderato, compresi quelli non elencati in questo foglio, si rivolga al medico o al farmacista. Può inoltre segnalare gli effetti indesiderati direttamente tramite il sistema nazionale di segnalazione all'indirizzo: <https://www.aifa.gov.it/content/segnalazioni-reazioni-avverse>. Segnalando gli effetti indesiderati, può aiutare a fornire maggiori informazioni sulla sicurezza di questo medicinale.

5. Come conservare Hemgenix

Le seguenti informazioni sono destinate esclusivamente agli operatori sanitari.

Tenere questo medicinale fuori dalla vista e dalla portata dei bambini.

Non usi questo medicinale dopo la data di scadenza riportata sul flaconcino e sulla scatola dopo la scritta "SCAD."

Conservare in frigorifero (2 °C - 8 °C). Non congelare.

Conservare i flaconcini nella confezione originale per proteggere il medicinale dalla luce.

Diluire prima dell'uso.

Una volta diluito con una soluzione per iniezione di sodio cloruro 9 mg/mL (0,9%), Hemgenix può essere conservato a 15 °C - 25 °C nella sacca da infusione al riparo dalla luce fino a 24 ore dopo la preparazione della dose.

Non usi questo medicinale se nota particelle, torbidità o alterazione del colore.

6. Contenuto della confezione e altre informazioni

Cosa contiene Hemgenix

- Il principio attivo è etranacogene dezaparvovec. Ogni mL di etranacogene dezaparvovec contiene 1×10^{13} copie-geniche (cg)/mL.
- Gli altri componenti (eccipienti) sono: saccarosio, polisorbato-20, potassio cloruro, potassio diidrogeno fosfato, sodio cloruro, sodio idrogeno fosfato, acido cloridrico (per aggiustamento del pH), acqua per preparazioni iniettabili (vedere anche paragrafo 2 "Hemgenix contiene sodio e potassio").

Questo medicinale contiene organismi geneticamente modificati.

Descrizione dell'aspetto di Hemgenix e contenuto della confezione

Hemgenix è un concentrato per soluzione per infusione (concentrato sterile).

Hemgenix è una soluzione limpida e incolore.

Hemgenix è fornito in un flaconcino contenente 10 mL di etranacogene dezaparvovec.

Il numero totale di flaconcini in una confezione corrisponde al dosaggio richiesto per il singolo paziente in base al suo peso corporeo ed è riportato sulla confezione.

Titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio e Produttore

CSL Behring GmbH
Emil-von-Behring-Strasse 76
D-35041 Marburg
Germania

Per ulteriori informazioni su questo medicinale, contatti il rappresentante locale del titolare dell'Autorizzazione all'Immissione in Commercio:

België/Belgique/Belgien

CSL Behring NV
Tél/Tel: +32 15 28 89 20

Luxembourg/Luxemburg

CSL Behring NV
Tél/Tel: +32 15 28 89 20

България

МагнаФарм България ЕАД
Тел: +359 2 810 3949

Magyarország

CSL Behring Kft.
Tel: +36 1 213 4290

Česká republika

CSL Behring s.r.o.
Tel: +420 702 137 233

Malta

AM Mangion Ltd.
Tel: +356 2397 6333

Danmark

CSL Behring ApS
Tlf: +45 4520 1420

Nederland

CSL Behring BV
Tel: +31 85 111 96 00

Deutschland

CSL Behring GmbH
Tel: +49 69 30584437

Norge

CSL Behring AB
Tlf: +46 8 544 966 70

Eesti

CSL Behring GmbH
Tel: +49 69 30584437

Österreich

CSL Behring GmbH
Tel: +43 1 80101 2463

Ελλάδα

CSL Behring ΕΠΕ
Τηλ: +30 210 7255 660

Polska

CSL Behring Sp. z o.o.
Tel.: +48 22 213 22 65

España

CSL Behring S.A.
Tel: +34 933 67 1870

Portugal

CSL Behring Lda
Tel: +351 21 782 62 30

France

CSL Behring SA
Tél: +33 1 53 58 54 00

România

Prisum Healthcare S.R.L.
Tel: +40 21 322 01 71

Hrvatska

Marti Farm d.o.o.
Tel: +385 1 5588297

Slovenija

EMMES BIOPHARMA GLOBAL s.r.o -
podružnica v Sloveniji
Tel: +386 41 42 0002

Ireland

CSL Behring GmbH
Tel: +49 69 305 17254

Ísland

CSL Behring AB
Sími: +46 8 544 966 70

Italia

CSL Behring S.p.A.
Tel: +39 02 34964 200

Κύπρος

CSL Behring ΕΠΕ
Τηλ: +30 210 7255 660

Latvija

CSL Behring GmbH
Tel: +49 69 30584437

Lietuva

CSL Behring GmbH
Tel: +49 69 30584437

Slovenská republika

CSL Behring s.r.o.
Tel: +421 911 653 862

Suomi/Finland

CSL Behring AB
Puh/Tel: +46 8 544 966 70

Sverige

CSL Behring AB
Tel: +46 8 544 966 70

United Kingdom (Northern Ireland)

CSL Behring GmbH
Tel: +49 69 305 17254

Questo foglio illustrativo è stato aggiornato il

A questo medicinale è stata rilasciata un'autorizzazione "subordinata a condizioni".

Ciò significa che devono essere forniti ulteriori dati su questo medicinale.

L'Agenzia europea per i medicinali esaminerà almeno annualmente le nuove informazioni su questo medicinale e questo foglio illustrativo verrà aggiornato, se necessario.

Altre fonti di informazione

Informazioni più dettagliate su questo medicinale sono disponibili sul sito web dell'Agenzia Europea per i Medicinali:

<http://www.ema.europa.eu>.

Questo foglio è disponibile in tutte le lingue dell'UE/SEE sul sito web dell'Agenzia Europea per i Medicinali.

Le seguenti informazioni sono destinate esclusivamente agli operatori sanitari:

Importante: Prima dell'uso leggere il Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto (RCP).

Precauzioni da prendere prima di manipolare o somministrare il medicinale

Questo medicinale contiene organismi geneticamente modificati (OGM).

Durante la preparazione e la somministrazione di etranacogene dezaparovec si devono indossare dispositivi di protezione individuale, compresi guanti, occhiali di protezione, indumenti protettivi e mascherine.

Preparazione di etranacogene dezaparovec prima della somministrazione

1. Usare tecniche asettiche per la preparazione e la somministrazione di etranacogene dezaparvovec.
2. Usare etranacogene dezaparvovec solo una volta (flaconcino/i monouso).
3. Verificare la dose necessaria di etranacogene dezaparvovec in base al peso corporeo del paziente. Il numero totale di flaconcini in ciascuna confezione finita corrisponde al dosaggio necessario per ciascun singolo paziente in base al peso corporeo.
4. Etranacogene dezaparvovec deve essere diluito con una soluzione per iniezione di sodio cloruro 9 mg/mL (0,9%) prima della somministrazione.
 - Prelevare il volume della dose calcolata di Hemgenix (in mL) dalla sacca o dalle sacche da infusione da 500 mL con soluzione per iniezione di sodio cloruro 9 mg/mL (0,9%). Il volume da prelevare varia in base al peso corporeo del paziente.
 - o Per i pazienti di peso corporeo inferiore a 120 kg, prelevare il volume di soluzione per iniezione di sodio cloruro 9 mg/mL (0,9%) corrispondente alla dose totale di Hemgenix (in mL) da una sacca da infusione da 500 mL.
 - o Per i pazienti di peso corporeo superiore o uguale a 120 kg, prelevare il volume di soluzione per iniezione di sodio cloruro 9 mg/mL (0,9%) corrispondente alla dose totale di Hemgenix (in mL) da due sacche da infusione da 500 mL, prelevando metà del volume da ciascuna delle due sacche da infusione da 500 mL.
 - Aggiungere successivamente la dose necessaria di Hemgenix alle sacche da infusione per riportare il volume totale in ciascuna sacca a 500 mL.
5. Aggiungere la dose di Hemgenix direttamente nella soluzione per iniezione di sodio cloruro 9 mg/mL (0,9%). Non aggiungere la dose di Hemgenix nell'aria all'interno della sacca da infusione durante la diluizione.
6. Capovolgere delicatamente la o le sacche da infusione almeno 3 volte per miscelare la soluzione e garantire una distribuzione uniforme del prodotto diluito.
7. Per evitare la formazione di schiuma:
 - Non agitare il flaconcino o i flaconcini di etranacogene dezaparvovec e le sacche da infusione preparate;
 - Non usare aghi filtranti durante la preparazione di etranacogene dezaparvovec.
8. Per ridurre il rischio di fuoriuscite e/o formazione di aerosol, la o le sacche da infusione devono essere collegate a un tubo per infusione riempito con soluzione sterile per iniezione di sodio cloruro 9 mg/mL (0,9%).
9. Prima dell'uso, collegare il tubo per infusione riempito con la soluzione sterile per iniezione di sodio cloruro 9 mg/mL (0,9%) alla linea di infusione endovenosa principale, che è stata anch'essa condizionata con soluzione sterile per iniezione di sodio cloruro 9 mg/mL (0,9%).
10. Usare solo una soluzione per iniezione di sodio cloruro 9 mg/mL allo (0,9%) poiché la stabilità di etranacogene dezaparvovec non è stata determinata con altre soluzioni e diluenti.
11. Non somministrare la soluzione diluita di etranacogene dezaparvovec nella stessa linea endovenosa insieme ad altri prodotti.
12. Non utilizzare una linea o porta centrale.

Somministrazione

13. Etranacogene dezaparvovec diluito deve essere ispezionato visivamente prima della somministrazione. Una volta diluito, etranacogene dezaparvovec appare come una soluzione limpida e incolore. Se nella sacca da infusione sono visibili particelle, torbidità o alterazione del colore, non utilizzare etranacogene dezaparvovec.
14. Usare il prodotto il più presto possibile dopo la diluizione. Non superare il tempo di conservazione del prodotto diluito oltre il tempo definito nel paragrafo 6.3 del Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto.
15. Utilizzare un filtro integrato (in linea) da 0,2 µm in polietilene (PES).
16. La soluzione diluita di etranacogene dezaparvovec deve essere somministrata in una vena periferica mediante una linea di infusione endovenosa distinta attraverso un catetere venoso periferico.
17. La soluzione di etranacogene dezaparvovec deve essere infusa seguendo rigorosamente le velocità di infusione indicate nel paragrafo 4.2 del Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto. La somministrazione deve essere terminata entro (≤ 4) ore dalla preparazione della dose (vedere paragrafo 4.2 del Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto).

18. Dopo aver infuso l'intero contenuto della sacca (o delle sacche), la linea di infusione deve essere sciacquata alla stessa velocità dell'infusione con una soluzione per iniezione di sodio cloruro 9 mg/mL (0,9%) per assicurare che venga somministrato tutto l'etranacogene dezaparovec.

Misure da adottare in caso di esposizione accidentale

In caso di esposizione accidentale, attenersi alle linee guida locali per i rifiuti farmaceutici.

- In caso di esposizione accidentale degli occhi, sciacquare immediatamente gli occhi con acqua per almeno 15 minuti. Non utilizzare soluzioni alcoliche.
- In caso di esposizione accidentale alla punta dell'ago, incoraggiare il sanguinamento della ferita e lavare bene l'area dell'iniezione con acqua e sapone.
- In caso di esposizione accidentale della pelle, pulire accuratamente l'area interessata con acqua e sapone per almeno 15 minuti. Non utilizzare soluzioni alcoliche.
- In caso di inalazione accidentale, portare la persona all'aria aperta.
- In caso di esposizione orale accidentale, sciacquare abbondantemente la bocca con acqua.
- In ogni caso, successivamente consultare un medico.

Le superfici di lavoro e i materiali che potrebbero essere stati a contatto con etranacogene dezaparovec devono essere decontaminati con un idoneo disinfettante ad azione virucida (ad esempio, un disinfettante che rilascia cloro, come l'ipoclorito contenente lo 0,1% di cloro disponibile (1000 ppm)) dopo l'uso.

Precauzioni da prendere per lo smaltimento del medicinale

Il medicinale non utilizzato e i materiali monouso che possono essere venuti a contatto con Hemgenix (rifiuti solidi e liquidi) devono essere smaltiti in conformità alle linee guida locali per i rifiuti farmaceutici. Il rischio di effetti negativi sulla salute umana in caso di esposizione accidentale a Hemgenix e i rischi ambientali sono tuttavia considerati trascurabili.

Gli operatori sanitari devono essere informati sulla corretta manipolazione dei rifiuti generati da dispositivi ancillari contaminati durante l'uso di Hemgenix

Le superfici di lavoro e i materiali potenzialmente a contatto con etranacogene dezaparovec devono essere decontaminati con un disinfettante idoneo ad azione virucida (ad esempio, un disinfettante che rilascia cloro come l'ipoclorito contenente lo 0,1% di cloro disponibile (1000 ppm)) dopo l'uso e, se possibile, autoclavati.