

Informatie voor de patiënt, ouders en verzorgers van de patiënt

Let op bij gebruik van Libmeldy. Atidarsagen autotemcel is de werkzame stof in het medicijn. Uw medicijn kan een merknaam hebben die anders is dan de werkzame stof. Kijk dus goed over welk medicijn dit gaat.

LIBMELDY[®] ▼ 2 - 10 x 10⁶ cellen/ml dispersie voor infusie

(atidarsagen autotemcel)

Belangrijke risicobeperkende informatie en educatieve gids voor patiënten en verzorgers van patiënten die Libmeldy gentherapie hebben ontvangen (een autologe CD34⁺ cel verrijkte populatie met hematopoëtische stam- voorlopercellen (HSPC) *ex vivo* getransduceerd met een lentivirale vector die het menselijke arylsulfatase A (ARSA) gen codeert).

Lees goed de hele bijsluiter voordat uw kind (of u) dit geneesmiddel gaat gebruiken want er staat belangrijke informatie in.

▼ Dit medicijn staat onder extra toezicht. Dit zorgt ervoor dat we snel nieuwe informatie over de veiligheid van dit medicijn verkrijgen.

Neem contact op met uw arts als u last krijgt van bijwerkingen. Doe dit ook bij bijwerkingen die niet in de bijsluiter staan. U kunt bijwerkingen melden via het Nederlands Bijwerkingen Centrum Lareb, website: www.lareb.nl. Door bijwerkingen te melden helpt u ons aan meer informatie over de veiligheid van dit medicijn.

Krijgt uw kind last van bijwerkingen, bespreek dat met de arts of verpleegkundige. Dit geldt ook voor bijwerkingen die niet in de bijsluiter staan. Zie de achterkant van deze handleiding voor manieren om bijwerkingen te melden.

Over deze handleiding

De informatie in deze handleiding is essentieel voor het goed begeleiden van uw kind na de gentherapiebehandeling met Libmeldy voor metachromatische leukodystrofie (MLD) en beschrijft waarom en hoe dit moet worden uitgevoerd. Lees deze handleiding goed door en neem contact op met de specialist van uw kind als u vragen heeft.

Gentherapie voor MLD en het risico op bloedkanker

Door de manier waarop de stamcellen van uw kind genetisch zijn aangepast is mogelijk van invloed op het bestaande genetische materiaal. Daardoor kan uw kind risico lopen op leukemie of lymfoom, soorten kanker die de witte bloedcellen treffen. Geen van de patiënten die in klinische onderzoeken werden behandeld met Libmeldy kregen leukemie of lymfoom, maar er is een klein risico dat dit in de toekomst kan gebeuren. Het is daarom belangrijk te controleren op symptomen van leukemie of lymfoom.

Symptomen van leukemie of lymfoom zijn onder meer koorts, kortademigheid, bleekheid, nachtelijk zweten, vermoeidheid, gezwollen lymfeklieren, veelvuldige infecties, een neiging tot bloeden en/of blauwe plekken krijgen, of kleine rode of paarse vlekken onder de huid. Als uw kind een van deze symptomen krijgt, moet u meteen contact opnemen met de specialist en moet deze informatie ook gemeld worden met behulp van de contactgegevens aan het einde van deze handleiding.

De specialist zal het bloed van uw kind ook controleren op tekenen van leukemie of lymfoom tijdens de jaarlijkse controles, die moet worden voortgezet na de behandeling.

Waarschuwingskaart voor patiënten

Na de behandeling van uw kind met Libmeldy krijgt hij/zij een waarschuwingskaart waar belangrijke informatie op staat. Het kind dat Libmeldy heeft gekregen of een ouder of verzorger moet deze waarschuwingskaart bij zich dragen om elke behandelende zorgverlener te laten weten dat het kind behandeld is met Libmeldy.

Belang van regelmatige controle

Een specialist zal de vooruitgang van uw kind na verloop van tijd volgen om te controleren op mogelijke bijwerkingen. Het kan voor sommige patiënten moeilijk zijn te vertellen hoe ze zich voelen; aarzel niet om alle symptomen of zorgen die u wellicht heeft te vertellen aan de specialist.

Inschrijving in een langetermijn-follow-uponderzoek

Er is een vervolgonderzoek opgezet om patiënten die behandeld zijn met Libmeldy te volgen om de effecten van dit medicijn op de lange termijn beter te kunnen begrijpen. U wordt hierover geïnformeerd door de behandelend arts van uw kind.

Het melden van bijwerkingen

Meld bijwerkingen bij het Nederlands Bijwerkingencentrum Lareb

▼ Dit medicijn staat onder extra toezicht. Dit zorgt ervoor dat we snel nieuwe informatie over de veiligheid van dit medicijn verkrijgen.

Neem contact op met uw arts als u last krijgt van bijwerkingen. Doe dit ook bij bijwerkingen die niet in de bijsluiter staan. U kunt bijwerkingen melden via het Nederlands Bijwerkingen Centrum Lareb, website: www.lareb.nl. Door bijwerkingen te melden helpt

u ons aan meer informatie over de veiligheid van dit medicijn.

Meld bijwerkingen ook bij Orchard Therapeutics drugsafety@orchard-tx.com.

Bij het melden van bijwerkingen, neemt u ook het partijnummer van het geneesmiddel op dat op de waarschuwingskaart voor patiënten staat.

Meer informatie

Deze informatie is ook terug te vinden op www.orchard-tx.nl.

Lees de bijsluiter voor meer informatie over uw medicijn op www.geneesmiddeleninformatiebank.nl. Ga met vragen over uw medicijn naar uw arts of apotheker.

Dit materiaal is goedgekeurd door het Nederlandse College ter Beoordeling van Geneesmiddelen (www.cbg-meb.nl).