



LEITFADEN FÜR PATIENTEN – ROCTAVIAN[®] ▼ (Valoctocogen Roxaparvovec)

Dieser Leitfaden ist obligatorischer Teil der Genehmigung für das Inverkehrbringen.

Sie dienen als zusätzliche risikominimierende Maßnahme, mit der sichergestellt werden soll, dass die Patienten mit den Besonderheiten der Anwendung von ROCTAVIAN[®] vertraut sind, so dass das mögliche Risiko bestimmter Nebenwirkungen verringert wird. Die risikominimierenden Schulungsmaterialien für ROCTAVIAN[®] wurden vom Bundesinstitut für Impfstoffe und biomedizinische Arzneimittel (Paul-Ehrlich-Institut) geprüft und genehmigt.

▼ Dieses Arzneimittel unterliegt einer zusätzlichen Überwachung. Dies ermöglicht eine schnelle Identifizierung neuer Erkenntnisse über die Sicherheit. Indem Sie Nebenwirkungen melden, können Sie dazu beitragen, dass mehr Informationen über die Sicherheit dieses Arzneimittels zur Verfügung gestellt werden. Bitte melden Sie Verdachtsfälle von Nebenwirkungen an BioMarin Email: drugsafety@bmrn.com, Telefon +1-415-506-6179 oder Fax: +1-415-532-3144 oder an das Paul-Ehrlich-Institut, Paul-Ehrlich Strasse 51-59, 63225 Langen, www.pei.de, Email: pharmakovigilanz2@pei.de.

ÜBER DIESEN LEITFADEN

Lesen Sie diesen Leitfaden für Patienten sorgfältig durch, bevor dieses Arzneimittel bei Ihnen angewendet wird, denn sie enthalten wichtige Informationen. Ihr Arzt oder Ihre Ärztin wird Sie über die Risiken, den Nutzen und die Unwägbarkeiten der Therapie mit ROCTAVIAN® aufklären bzw. diese mit Ihnen besprechen, bevor eine Behandlungsentscheidung getroffen wird.

Bevor Sie entscheiden, ob ROCTAVIAN® die richtige Behandlungsoption für Sie ist, besprechen Sie bitte die folgenden Punkte mit Ihrem Arzt oder Ihrer Ärztin:

- Nicht alle Patienten können von einer Behandlung mit ROCTAVIAN® profitieren. Die Gründe dafür wurden noch nicht herausgefunden. Auch Patienten, die kein Ansprechen zeigen, sind langfristigen Risiken ausgesetzt.
- Zur Behandlung von Leberschäden, die durch ROCTAVIAN® entstanden sind, ist in den meisten Fällen eine gleichzeitige Behandlung mit Corticosteroiden erforderlich. Ihr Arzt oder Ihre Ärztin wird regelmäßige Blutuntersuchungen anordnen, um Ihr Ansprechen auf ROCTAVIAN® zu überprüfen und die Gesundheitszustand Ihrer Leber zu beurteilen. Sie sollten das medizinische Fachpersonal über die aktuelle Anwendung von Corticosteroiden oder anderen Immunsuppressiva informieren. Wenn Sie keine Corticosteroide einnehmen können, kann der Arzt alternative Arzneimittel empfehlen, um Probleme der Leber zu behandeln.
- ROCTAVIAN® enthält eine virale Genfäure und kann mit einem erhöhten Risiko für einen bösartigen Tumor verbunden sein.
- Bitte befolgen Sie die Anweisungen Ihres Arztes, um Nebenwirkungen zu überwachen und zu minimieren.
- Sie müssen sich einigen notwendigen Tests unterziehen, die Ihnen von Ihrem Arzt empfohlen werden, um sicherzustellen, dass Sie ein geeigneter Kandidat für eine Behandlung sind.
- Sie werden gebeten, sich für 15 Jahre in ein Register einzutragen, damit die Langzeitwirkungen von ROCTAVIAN® überwacht werden können.

Bitte bewahren Sie diesen Leitfaden auf, damit Sie später erneut darauf zurückgreifen können. Wenn Sie Nebenwirkungen bemerken, wenden Sie sich an Ihren Arzt oder das medizinische Fachpersonal. Dies gilt auch für Nebenwirkungen, die nicht in diesem Patientenleitfaden beschrieben sind. Möglichkeiten zur Meldung von Nebenwirkungen finden Sie am Ende und am Anfang dieses Patientenleitfadens.

Nachdem Ihnen ROCTAVIAN® verabreicht wurde, wird Ihnen ein Patientenausweis ausgehändigt. Sie müssen den Patientenausweis stets mit sich führen, damit medizinisches Fachpersonal weiß, dass Sie mit ROCTAVIAN® behandelt wurden.

ÜBERBLICK ÜBER ROCTAVIAN®

Der Körper besteht aus vielen Zellen und alle Zellen enthalten Bauplan-Anweisungen, die als „Gene“ bezeichnet werden. Diese Gene helfen Ihren Zellen, die Proteine herzustellen, die Ihr Körper benötigt, um alle Funktionen richtig auszuführen. Wenn eine Anweisung (ein Gen) fehlt oder fehlerhaft ist, entsteht ein Problem mit der Produktion oder Funktion des entsprechenden Proteins. Hämophilie A wird verursacht, wenn ein für die Blutgerinnung erforderliches Protein, der so genannte Faktor VIII, nicht gebildet wird, weil das entsprechende Gen nicht vorhanden ist oder nicht richtig funktioniert. Mithilfe der Gentherapie werden fehlerhafte Gene durch gesunde Gene ergänzt.

ROCTAVIAN® ist eine Gentherapie, die das Gen enthält, das der Körper braucht, um selbst FVIII zu bilden. Dies kann Blutungen verhindern oder die Anzahl von Blutungsepisoden reduzieren.

Um das Gen in die Leberzellen einzuschleusen, in denen das FVIII produziert wird, wird es in eine äußere Hülle gepackt, die aus einem Virus hergestellt wird (eine so genannte Genfähre). Die Genfähre basiert auf dem Adeno-assoziierten Virus (AAV) Serotyp 5. Es ist ein kleines Virus, das nach aktuellem Kenntnisstand keine Krankheiten verursacht. Dieses Arzneimittel wird zur Behandlung der vererbten, schweren Hämophilie A bei Erwachsenen eingesetzt, die weder aktuell noch früher Hemmkörper gegen Faktor VIII und keine Antikörper gegen das Virus AAV5 haben bzw. hatten.

BEHANDLUNG MIT ROCTAVIAN®

Infusion von ROCTAVIAN®

ROCTAVIAN® wird über einen Tropf (intravenöse Infusion) in eine Vene verabreicht. Die Infusion kann mehrere Stunden dauern.

Während oder kurz nach der Infusion von ROCTAVIAN® können einige Nebenwirkungen auftreten. Wenn Sie eines der folgenden Symptome bemerken, informieren Sie sofort das Pflegepersonal oder Ihren Arzt oder Ihre Ärztin:

- Ausschlag (Nesselsucht oder andere Hautausschläge), Juckreiz
- Atembeschwerden, Niesen, Husten, laufende Nase, tränende Augen, Kribbeln im Hals
- Übelkeit, Durchfall
- Hoher oder niedriger Blutdruck, schneller Herzschlag, Benommenheit (Beinahe-Ohnmacht)
- Muskelschmerzen, Rückenschmerzen
- Fieber, Schüttelfrost, Zittern

Lebergesundheit

Die Wirkung von ROCTAVIAN® beruht darauf, dass es das funktionierende Gen zur Herstellung von FVIII in Ihren eigenen Leberzellen bereitstellt. Ihr Arzt oder Ihre Ärztin wird Sie beraten, wie Sie Ihre Lebergesundheit erhalten können.

Vor der Verabreichung von ROCTAVIAN®:

Sie können nicht mit ROCTAVIAN® behandelt werden, wenn Sie eine fortgeschrittene chronische Lebererkrankung oder jemals Leberkrebs hatten. Ihr Arzt oder Ihre Ärztin kann Ihnen von einer Behandlung mit ROCTAVIAN® abraten, wenn Sie eine andere Lebererkrankung haben, die die Wirkung von ROCTAVIAN® beeinträchtigen könnte. Dementsprechend müssen Sie sich möglicherweise einigen notwendigen, von Ihrem Arzt oder Ihrer Ärztin empfohlenen Tests unterziehen, um sicherzustellen, dass die Behandlung für Sie geeignet ist.

Ihre Leber und Ihr allgemeiner Gesundheitszustand, einschließlich aller neuen oder dauerhaft eingenommenen Medikamente werden untersucht, um festzustellen, ob eine Behandlung mit ROCTAVIAN® für Sie in Frage kommt.

Bei vielen Patienten in den klinischen Studien zu ROCTAVIAN® kam es zu einem leichten bis mäßigen Anstieg von Enzymen, die von der Leber produziert werden. Da dieser Anstieg ein Anzeichen sein kann, dass die Herstellung von FVIII beeinträchtigt sein könnte, müssen Sie in diesen Fällen möglicherweise mit Corticosteroiden behandelt werden. Bitte beachten Sie, dass Sie sich nach der Behandlung mit ROCTAVIAN® regelmäßigen Kontrolluntersuchungen und Blutentnahmen zur Überwachung Ihrer Lebergesundheit unterziehen müssen. Bei der Untersuchung, ob Sie für die Behandlung mit ROCTAVIAN® geeignet sind, wird Ihr Arzt/Ihre Ärztin auch beurteilen, ob Sie eine Langzeitbehandlung mit Corticosteroiden erhalten können. Davon abhängig kann Ihr Arzt/Ihre Ärztin Ihnen raten, die Behandlung mit ROCTAVIAN® zu vermeiden oder zu verschieben.

Nach der Verabreichung von ROCTAVIAN®:

Nach der Behandlung mit ROCTAVIAN® werden der Gesundheitszustand Ihrer Leber und Ihre FVIII-Aktivität regelmäßig überwacht. Es ist daher wichtig, dass Sie mit Ihrem Arzt oder Ihrer Ärztin zusammenarbeiten, damit alle erforderlichen Blutuntersuchungen durchgeführt werden können.

Wenn Ihr Arzt oder Ihre Ärztin einen Anstieg der Leberenzyme feststellt, kann er Ihnen vorschlagen, eine 2-monatige Behandlung mit Corticosteroiden zu beginnen, die je nach Ansprechen verlängert werden kann. Es ist wichtig, dass Sie mit Ihrem Arzt oder Ihrer Ärztin die Nebenwirkungen von Corticosteroiden besprechen, und was getan werden kann, um sie zu verhindern oder in den Griff zu bekommen. Es ist wichtig, dass Sie den Medikamentenplan einhalten, den Ihr Arzt oder Ihre Ärztin Ihnen gibt, und die Corticosteroide nicht ohne Rücksprache mit Ihrem Arzt oder Ihrer Ärztin absetzen. Ihr Arzt oder Ihre Ärztin kann Ihnen auch ein alternatives Medikament zur Behandlung von ALT-Erhöhungen geben, wenn Corticosteroide nicht verabreicht werden können.

Es ist wichtig, dass Sie mit Ihrem Arzt oder Ihrer Ärztin sprechen, bevor Sie neue Medikamente oder Nahrungsergänzungsmittel einnehmen. Von der Einnahme von Medikamenten wie Isotretinoin, das häufig zur Behandlung von Akne eingesetzt wird, wird abgeraten. Sie sollten mindestens ein Jahr auf Alkohol verzichten und mit Ihrem Arzt oder Ihrer Ärztin besprechen, wie viel Alkohol danach akzeptabel ist.

Spenden von Blut und Körperflüssigkeiten sowie Organspenden

Die Komponenten, aus denen das Arzneimittel ROCTAVIAN® besteht, sind in Körperflüssigkeiten wie Samen, Urin, Speichel, Stuhl und Blut nachweisbar. Mit der Zeit sollten sie aus diesen Flüssigkeiten verschwinden, doch wie lange das dauert, ist von Person zu Person unterschiedlich.

- Spenden Sie kein Blut, Organe, Gewebe und Zellen für Transplantationen nach Erhalt von ROCTAVIAN®.

Sie sollten eine Schwangerschaft Ihrer Partnerin durch wirksame Verhütungsmethoden verhindern oder um 6 Monate hinausschieben.

- Sprechen Sie mit Ihrem Arzt oder Ihrer Ärztin über wirksame Formen der Empfängnisverhütung.
- Informieren Sie Ihr Arzt oder Ihre Ärztin, wenn Ihre Partnerin schwanger wird.
- Spenden Sie über einen Zeitraum von 6 Monaten nach Erhalt von ROCTAVIAN® keinen Samen.

Blutgerinnsel

ROCTAVIAN® kann den FVIII-Spiegel für eine gewisse Zeit über den Normbereich hinaus erhöhen. Werte über dem Normbereich könnten Ihr Risiko für die Bildung unerwünschter Blutgerinnsel erhöhen.

Vor der Verabreichung von ROCTAVIAN® :

Ihr Arzt oder Ihre Ärztin wird mit Ihnen alle Risikofaktoren für Blutgerinnsel oder Herz-Kreislauf-Erkrankungen besprechen, die sich darauf auswirken könnten, ob Sie mit ROCTAVIAN® behandelt werden können.

Nach der Verabreichung von ROCTAVIAN® :

Ihr Arzt oder Ihre Ärztin wird Ihren FVIII-Blutspiegel überwachen. Wenn Ihre Werte über dem Normbereich liegen, wird Ihr Arzt oder Ihre Ärztin Ihnen unter Berücksichtigung all Ihrer Risikofaktoren zu der für Sie geeigneten Behandlung raten.

Informieren Sie sofort Ihr Arzt oder Ihre Ärztin, wenn Sie Anzeichen oder Symptome bemerken, die auf ein Blutgerinnsel hindeuten wie z. B. Anzeichen eines Schlaganfalls (z. B. Schwäche, Sprachstörungen, herunterhängende Gesichtshälfte), Anzeichen eines Herzinfarkts (z. B. Beschwerden im Brustkorb, Schmerzen im Kiefer, Kurzatmigkeit, kalter Schweiß, Benommenheit, geschwollenes Bein), und suchen Sie dringend Ihr Arzt oder Ihre Ärztin auf.

FVIII-Inhibitoren

Es werden Bluttests durchgeführt, um festzustellen, ob Sie Inhibitoren (Hemmkörper), also neutralisierende Antikörper, gegen FVIII entwickeln.

Mit ROCTAVIAN® potenziell assoziiertes Krebsrisiko

ROCTAVIAN® fügt sich in die menschliche Leber-DNA ein und kann sich auch in die DNA anderer menschlicher Körperzellen einfügen. Infolgedessen könnte ROCTAVIAN® zu einem Krebsrisiko beitragen. Obwohl es in den bisherigen klinischen Studien keine Hinweise darauf gibt, bleibt dies aufgrund der Art des Arzneimittels ROCTAVIAN® theoretisch möglich. Sollte bei Ihnen eine Krebserkrankung auftreten, kann Ihr Arzt oder Ihre Ärztin eine Probe für weitere Untersuchungen entnehmen.

Langzeitwirkung

Für die mit ROCTAVIAN® behandelten Patienten wurde eine Langzeitnachbeobachtungsstudie (ein Register) ins Leben gerufen. Ihr Arzt oder Ihre Ärztin wird Sie darüber informieren, wie Sie sich in das Register eintragen lassen können, das dazu dient, die Langzeitwirkungen von ROCTAVIAN® besser zu verstehen.

MELDUNG VON NEBENWIRKUNGEN

Sie können Nebenwirkungen, die bei Ihnen auftreten, direkt an BioMarin melden drugsafety@bmrn.com; Tel.: +1-415-506-6179 oder Fax: +1-415-532-3144.

Geben Sie bei der Meldung von Nebenwirkungen das Arzneimittel und die Chargennummer an. Diese finden Sie auf Ihrem Patientenausweis.

Die Meldung von Nebenwirkungen ist auch über die nationalen Meldesysteme möglich. Paul Ehrlich Institute, Paul Ehrlich Strasse 51-59, 63225 Langen, www.pei.de, e-mail: pharmakovigilanz2@pei.de. Geben Sie bei der Meldung von Nebenwirkungen das Arzneimittel und die Chargennummer an. Diese finden Sie auf Ihrer Patienten-Hinweiskarte.

Die Patientenkarte, der Patientenleitfaden und die Gebrauchsinformation sind auch unter www.roctavian.de abrufbar. Die Seite kann auch direkt über den unten stehenden QR-Code aufgerufen werden. Der QR-Code führt Sie direkt zu den zugänglichen HTML-Dateien für die Patientenkarte, den Patientenleitfaden und die Patienteninformation.

