

Dôležité následné informácie týkajúce sa minimalizácie rizík určené
pre deti, ktoré podstúpili génovú terapiu liekom STRIMVELIS®▼ (autológne
CD34⁺ bunky transdukované na expresiu ADA)
– vzdelávací leták pre rodičov/opatrovateľov

Nové lieky sú označené čiernym symbolom v tvare obráteného
trojuholníka (▼), ktorý znamená, že sú predmetom ďalšieho monitorovania, aby
sa umožnilo rýchle získanie nových informácií o bezpečnosti.
Môžete pomôcť tým, že nahlásite akékoľvek vedľajšie účinky alebo príznaky,
ktoré spozorujete u vášho dieťaťa – kontaktné údaje sú uvedené
na konci tohto letáka.

O tomto letáku

Informácie v tomto letáku sú nevyhnutné na zaistenie efektívneho sledovania vášho dieťaťa po génovej terapii ADA-SCID liekom Strimvelis®.

Strimvelis je indikovaný na liečbu pacientov s ťažkým kombinovaným imunodeficitom spôsobeným deficitom adenozíndeaminázy (ADA-SCID), pre ktorých nie je k dispozícii vhodný pokrvne príbuzný darca kmeňových buniek, ktorý má zhodu v ľudských leukocytových antigénoch (human leukocyte antigens, HLA). Pozorne si prečítajte, prosím, tento leták a obráťte sa na ošetrojúceho lekára špecialistu, ak máte akékoľvek otázky.

Ošetrojúci lekár špecialista bude pravidelne sledovať, ako sa stav vášho dieťaťa vyvíja v priebehu času, pričom ho bude kontrolovať kvôli vybraným rizikám vysvetlenými v tomto letáku a kvôli akýmkoľvek iným príznakom. Je tiež potrebné, aby ste ošetrojúceho lekára špecialistu informovali o akýchkoľvek príznakoch alebo obavách.

Génová terapia ADA-SCID a riziko rakoviny krvi

Spôsob, akým je funkčná kópia génu zodpovedného za tvorbu ADA vložená do buniek z kostnej drene dieťaťa, môže potenciálne poškodiť genetický materiál v týchto bunkách. To môže dieťa vystaviť riziku vzniku leukémie, typu rakoviny, ktorá postihuje biele krvinky. U žiadneho z detí, ktorým bol podaný Strimvelis®, sa nerozvinula leukémia, ale existuje malé riziko, že by sa mohla vyskytnúť v budúcnosti. Preto je dôležité sledovať vaše dieťa kvôli príznakom leukémie.

Príznaky leukémie môžu zahŕňať horúčku, dýchavičnosť, bledosť, nočné potenie, únavu, opuch lymfatických uzlín, časté infekcie, náchylnosť na krvácanie a/alebo ľahkú tvorbu modrín, alebo drobné červené alebo fialové bodky pod kožou. Ak sa u vášho dieťaťa objaví ktorýkoľvek z týchto príznakov, ihneď sa obráťte na

ošetrojúceho lekára špecialistu a tiež to nahláste na kontaktné miesta uvedené na konci tohto letáka.

Ošetrojúci lekár špecialista bude kontrolovať krv vášho dieťaťa na prítomnosť akýchkoľvek prejavov leukémie počas pravidelných každoročných prehliadok, v ktorých sa bude pokračovať na neurčitý čas po liečbe. Tiež bol zriadený samostatný register na zhromažďovanie informácií o dlhodobej bezpečnosti od lekárov a rodičov/opatrovateľov detí, ktoré podstúpili liečbu liekom Strimvelis® a mali by ste byť o ňom osobitne upovedomený(á). Ak ste o tomto registri nepočuli, opýtajte sa naň, prosím, svojho ošetrojúceho lekára špecialistu.

Autoimunita

Je to stav, keď imunitný systém tela považuje svoje vlastné tkanivá a bunky za cudzie a tieto zdravé bunky napáda. Keďže u detí s ADA-SCID imunitný systém nefunguje správne, autoimunita sa u nich často vyskytuje už pred liečbou a problémy súvisiace s autoimunitou môžu vzniknúť aj po liečbe, zvyčajne v priebehu prvých troch rokov, keď sa imunitný systém dieťaťa stáva silnejším.

Autoimunita sa môže prejavovať od miernej imunitnej reakcie až po autoimunitné ochorenia, akými sú anémia alebo problémy s pečeňou.

Pravdepodobnosť vzniku problémov s autoimunitou po génovej terapii je u vášho dieťaťa vyššia, ak tieto problémy malo už pred liečbou alebo ak sa autoimunita vyskytuje v rodinnej anamnéze (t. j. u pokrvne príbuzného).

Príznaky môžu zahŕňať vysokú teplotu, vyrážku, bolesť kĺbov, bolesť svalov alebo svalovú slabosť, alebo pocit únavy alebo choroby prítomný po väčšinu času. Ošetrojúci lekár špecialista bude počas sledovania vášho dieťaťa aktívne vyhľadávať prejavy autoimunity a môžete pomôcť tým, že mu ihneď nahlásite

akékoľvek príznaky, ktoré spozorujete, a tým, že ich tiež nahlásite na kontaktné miesta uvedené na konci tohto letáka.

Nedostatočná odpoveď na liečbu

Génová terapia je určená na liečbu prejavov ADA-SCID imunologického pôvodu vrátane častých závažných infekcií, ale pravdepodobne nepomôže odstrániť typické prejavy neimunologického pôvodu, akými sú stukovatenie pečene, zhoršený sluch alebo behaviorálne (t. j. súvisiace so správaním) problémy. Prítomnosť príznakov neimunologického pôvodu však nemusí nevyhnutne znamenať, že vaše dieťa dosiahlo nedostatočnú odpoveď na génovú terapiu. Ošetrojúci lekár bude vyšetrovať vaše dieťa s ohľadom na obidva aspekty ADA-SCID počas pravidelných kontrolných prehliadok.

Ak budete mať podozrenie, že odpoveď vášho dieťaťa na génovú terapiu zoslabla (napríklad, ak má príznaky svedčiace o infekcii, akými sú horúčka, kašeľ, riedka stolica, bolesť pri močení), ihneď sa obráťte na ošetrojúceho lekára špecialistu. Mali by sa vykonať krvné testy a ďalšie vyšetrenia, aby sa skontrolovala sila imunitného systému a aby sa získal dôkaz o tom, že enzým ADA zaistený liečbou liekom Strimvelis® stále funguje.

Ak tieto vyšetrenia potvrdia, že odpoveď je nedostatočná, u vášho dieťaťa sa ešte stále môže zvažovať enzýmová substitučná liečba alebo transplantácia kostnej drene.

Tehotenstvo

Po liečbe liekom Strimvelis® sa odporúča plánované rodičovstvo vo vhodnom čase, pretože tento liek nie je určený na opravu genetickej chyby v reprodukčných bunkách vášho dieťaťa a jeho vplyv na tehotenstvo doteraz nie je známy. Ošetrojúci lekár špecialista vám bude vedieť poradiť ohľadom

plánovania rodičovstva, keď si vy alebo vaše dieťa budete myslieť, že na to dosiahlo vhodný vek.

Podozrenia na vedľajšie účinky alebo príznaky, ktoré spozorujete u vášho dieťaťa môžete okrem lekára hlásiť aj vy.

Kontaktné údaje pre hlásenie sú:

Štátny ústav pre kontrolu liečiv

Sekcia bezpečnosti liekov a klinického skúšania,

Kvetná 11, 825 08 Bratislava 26,

tel: + 421 2 507 01 206,

internetová stránka: <http://www.sukl.sk/sk/bezpecnost-liekov> ,

e-mail: neziaduce.ucinky@sukl.sk.

Formulár na elektronické podávanie hlásení: <https://portal.sukl.sk/eskadra/>

Hlásenia je možné posielat' aj spoločnosti GSK na e-mailovú adresu:

sk-safety@gsk.com

