

Indlægsseddel: Information til patienten eller omsorgspersonen

Casgevy 4 - 13 × 10⁶ celler/ml infusionsvæske, dispersion exagamglogenaucell (CD34⁺-celler)

▼ Dette lægemiddel er underlagt supplerende overvågning. Dermed kan der hurtigt tilvejebringes nye oplysninger om sikkerheden. Du kan hjælpe ved at indberette alle de bivirkninger, du får. Se sidst i pkt. 4, hvordan du indberetter bivirkninger.

Læs denne indlægsseddel grundigt, inden du begynder at få dette lægemiddel, da den indeholder vigtige oplysninger

- Gem indlægssedlen. Du kan få brug for at læse den igen.
- Spørg lægen eller sygeplejersken, hvis der er mere, du vil vide.
- Kontakt lægen eller sygeplejersken, hvis du får bivirkninger, herunder bivirkninger, som ikke er nævnt i denne indlægsseddel. Se pkt. 4.

Se den nyeste indlægsseddel på www.indlaegsseddel.dk.

Oversigt over indlægssedlen

1. Virkning og anvendelse
2. Det skal du vide, før du begynder at få Casgevy
3. Sådan produceres og gives Casgevy
4. Bivirkninger
5. Opbevaring
6. Pakningsstørrelser og yderligere oplysninger

1. Virkning og anvendelse

Hvad er Casgevy?

Casgevy er et genterapipræparat, der indeholder det aktive stof exagamglogenaucell.

Casgevy er lavet specielt til dig med dine egne blodstamceller. Blodstamceller kan blive til andre blodlegemer, herunder røde blodlegemer, hvide blodlegemer og blodplader. Disse celler indsamles fra dit blod, hvorefter de genmodificeres og gives tilbage til dig som en transplantation på et hospital.

Anvendelse

Casgevy anvendes til at behandle:

- **Personer i alderen 12 år og derover med beta-talassæmi**, der har brug for regelmæssige blodtransfusioner (transfusionsafhængig talassæmi, TDT). Personer med TDT danner som følge af en gendefekt ikke nok hæmoglobin, som er et protein i blodet, der transporterer ilt gennem kroppen. Dette forårsager anæmi, og de har brug for regelmæssige blodtransfusioner.
- **Personer i alderen 12 år og derover med seglcellesygdom (SCD)**, der har hyppige smertefulde kriser (kaldet vaso-okklusive kriser eller VOC'er). Patienter med SCD har en anden form for hæmoglobin (seglcellehæmoglobin eller HbS) end andre personer som følge af en gendefekt. HbS fører til unormale seglformede røde blodlegemer, der klæber sammen og ikke så nemt kan føres gennem blodkarrene. Dette kan føre til blokering af blodkar, hvilket forårsager VOC'er.

Virkning

Casgevy virker ved at øge produktionen af en særlig type hæmoglobin kaldet hæmoglobin F (*føtal hæmoglobin* eller HbF). Hvis man får mere HbF, forbedrer det produktionen og funktionen af røde blodlegemer. Som følge heraf vil personer med TDT muligvis ikke have brug for blodtransfusioner, og personer med seglcellesygdom vil muligvis ikke opleve VOC'er.

2. Det skal du vide, før du begynder at få Casgevy

Du må ikke få Casgevy:

- **hvis du er allergisk over for exagamglogena** eller et af de øvrige indholdsstoffer i Casgevy (angivet i pkt. 6).
- **hvis du er allergisk over for et af indholdsstofferne** i lægemidlerne, som du vil få for at forberede dig til behandling med Casgevy (se pkt. 3).

Fortæl det straks til lægen, hvis noget af dette gælder for dig, eller hvis du er i tvivl. Du vil ikke få behandlingen, hvis du er allergisk over for nogen af disse lægemidler.

Advarsler og forsigtighedsregler

Kontakt lægen eller sygeplejersken, før du får Casgevy.

Før behandling med Casgevy:

- Du vil få **to andre typer lægemidler**, før du får Casgevy. For yderligere oplysninger om disse lægemidler, se pkt. 3.
 - **Mobiliserende lægemiddel/lægemidler** for at flytte blodstamcellerne fra din knoglemarv ind i kredsløbet, så de kan indsamles til fremstilling af Casgevy. Dette trin tager 2-6 dage.
 - **Konditionerende lægemiddel** gives til dig kort før du får Casgevy. Dette danner plads i knoglemarven, så nye blodlegemer kan vokse efter behandlingen med Casgevy.
- Lægen vil tale med dig om den **mulige virkning af det konditionerende lægemiddel på frugtbarheden**. Se nedenfor under "*Fertilitet hos mænd og kvinder*".
- Hos personer med SCD kan det være mere besværligt at flytte blodstamcellerne fra knoglemarven, og således at indsamle dem, sammenlignet med personer med TDT. Det kan derfor være nødvendigt med flere mobiliseringer og indsamlinger hos personer med SCD end hos personer med TDT.

Efter behandling med Casgevy:

- Du vil have færre blodlegemer i et stykke tid, indtil Casgevy optages i din knoglemarv. Dette omfatter:
 - Lave niveauer af blodplader (celler, der hjælper blodet med at størkne). Lave niveauer af blodplader kan forårsage blødning.
 - **Fortæl det straks til lægen**, hvis du har nogen af følgende tegn på lave blodpladeniveauer: svær hovedpine, unormale blå mærker, langvarig blødning eller blødning uden skade, såsom næseblod, blødning fra tandkødet, blod i urin, afføring eller opkast eller ophostning af blod.
 - Lave niveauer af neutrofiler (en type hvide blodlegemer, der normalt forhindrer infektioner). Lave niveauer af neutrofiler kan gøre infektioner mere sandsynlige.
 - **Fortæl det straks til lægen**, hvis du har nogen af følgende tegn på lave niveauer af hvide blodlegemer: feber, kulderystelser eller andre tegn på infektioner, såsom ondt i halsen, hoste eller åndenød, smerter eller en brændende fornemmelse under vandladning eller hyppig vandladning eller diarré.
- Din læge vil overvåge blodcelleniveauerne og give dig behandling efter behov. Lægen vil fortælle dig, når dine blodplader og neutrofiler er vendt tilbage til sikre niveauer.
- Lægen vil overvåge dit niveau af blodlegemer og dit generelle helbred for at hjælpe forskere med at forstå de langsigtede virkninger af Casgevy.
- Hos nogle patienter kan hæmoglobinniveauerne være lavere, end det normalt forventes for deres alder og køn.

- Efter behandling med Casgevy er der en teoretisk risiko for blodkræft (myelodysplasi, leukæmi eller lymfom), selvom det ikke er set i studier med Casgevy. Din læge vil overvåge dig mindst en gang om året i 15 år for eventuelle tegn på blodkræft.
- Indholdsstoffer i Casgevy, der kaldes dimethylsulfoxid (DMSO), dextran 40 og Cas9, kan medføre alvorlige allergiske reaktioner. Din læge eller sygeplejerske vil overvåge dig for tegn og symptomer på en allergisk reaktion, både under og efter behandlingen med Casgevy. Se også pkt. 2 "Casgevy indeholder natrium og dimethylsulfoxid (DMSO)".
- Casgevy testes for tilstedeværelse af infektiøse mikrober, men der er stadig en lille risiko for infektion. Din læge eller sygeplejerske vil overvåge dig for tegn og symptomer på infektioner og sørge for behandling efter behov.
-
- Efter behandling med Casgevy **må du ikke donere** blod, organer, væv eller celler.
- Casgevy fremstilles af dine egne celler og gives kun til dig. Oplysninger om cellebaserede lægemidler skal opbevares i 30 år på det hospital, hvor du får behandlingen. De oplysninger, der opbevares, inkluderer dit navn, præparatets navn og batchnummeret/-numrene på Casgevy, du har fået.

Hvis Casgevy-behandlingen ikke kan gennemføres eller mislykkes

Hvis Casgevy ikke kan gives efter det konditionerende lægemiddel, eller hvis de modificerede blodstamceller ikke optages i kroppen, kan lægen beslutte at give dig en injektion i en vene, der indeholder dine nødceller (dine egne oprindelige og ubehandlede blodstamceller), som indsamles og opbevares inden behandlingsstart (se pkt. 3). Hvis du får nødceller, vil du ikke have nogen behandlingsfordel og vil stadig have brug for behandling mod enten TDT eller SCD.

Børn under 12 år

Casgevy må ikke gives til børn under 12 år. Det er endnu ukendt, om Casgevy er sikkert og virker hos disse børn.

Brug af andre lægemidler sammen med Casgevy

Fortæl altid lægen eller sygeplejersken, hvis du tager andre lægemidler, for nylig har taget andre lægemidler eller planlægger at tage andre lægemidler.

Tag ikke lægemidler, der fjerner jern fra kroppen (kelaterende midler, såsom deferoxamin, deferipron og/eller deferasirox) i mindst 7 dage, før du får det konditionerende lægemiddel. Din læge vil rådgive dig om, hvorvidt og hvornår du kan begynde at tage disse lægemidler efter behandling med Casgevy.

Tag ikke andre lægemidler mod seglcellesygdom (såsom hydroxyurinstof/hydroxycarbamid, crizanlizumab eller voxelotor) i mindst 8 uger, før du får de mobiliserende og konditionerende lægemidler. Din læge vil rådgive dig om, hvorvidt og hvornår du kan begynde at tage disse lægemidler efter behandling med Casgevy.

Vacciner, der kaldes "levende vacciner", må ikke gives i 6 uger før det konditionerende lægemiddel, der bruges som forberedelse til Casgevy-behandlingen, og heller ikke efter behandlingen, mens dit immunsystem (kroppens forsvarssystem) normaliseres. Tal med din læge, hvis du skal vaccineres.

Graviditet

Denne behandling må ikke gives under graviditet på grund af de mulige virkninger af det konditionerende lægemiddel. Virkningen af Casgevy hos gravide kvinder er ukendt. Tal med lægen om graviditet efter at have fået Casgevy.

Hvis du er gravid eller har mistanke om, at du er gravid efter behandling med Casgevy, **skal du straks kontakte lægen.**

Hvis du er en kvinde, der kan blive gravid, **vil du få lavet en graviditetstest**, inden du begynder på de mobiliserende og konditionerende lægemidler for at sikre, at du ikke er gravid.

Prævention hos mænd og kvinder

Hvis du er en kvinde, der kan blive gravid, eller en mand, der er i stand til at gøre en kvinde gravid, **skal du anvende sikker prævention** fra starten af mobiliseringsbehandlingen og **i mindst 6 måneder**, efter at du har fået Casgevy. Tal med lægen om passende præventionsmetoder.

Amning

Amning skal stoppes under konditionering på grund af de mulige virkninger af det konditionerende lægemiddel. Det er ukendt, om Casgevys indholdsstoffer kan udskilles i modermælken. Du og din læge vil diskutere fordelene ved amning for dit barn versus de mulige risici ved behandling.

Frugtbarhed hos mænd og kvinder

Det kan være, at du ikke kan blive gravid eller gøre en kvinde gravid, efter at du har fået det konditionerende lægemiddel. **Du bør diskutere dine muligheder med lægen inden behandling.** Disse kan omfatte opbevaring af reproduktivt materiale (f.eks. æg, sæd) til senere brug.

Trafik- og arbejdssikkerhed

De mobiliserende og konditionerende lægemidler, der anvendes før behandling med Casgevy, kan forårsage svimmelhed og træthed. Hvis du føler dig svimmel, træt eller utilpas, må du ikke føre motorkøretøj, betjene maskiner eller deltage i aktiviteter, der kræver, at du er opmærksom.

Casgevy indeholder natrium og dimethylsulfoxid (DMSO)

Dette lægemiddel indeholder ca. 5,3-70 mg natrium (hovedkomponent af madlavnings-/bordsalt) pr. hætteglas. Dette svarer til 0,3-4 % af den anbefalede maksimale daglige indtagelse af natrium for en voksen. Det samlede antal hætteglas, der udgør en dosis, varierer fra patient til patient.

Dette lægemiddel indeholder ca. 50 mg DMSO pr. ml. Se pkt. 2 "Advarsler og forsigtighedsregler".

3. Sådan produceres og gives Casgevy

Casgevy gives kun én gang.

Casgevy må kun gives på et godkendt behandlingscenter (specialhospital) af læger med erfaring i stamcelletransplantationer og i behandling af patienter med blodsygdomme såsom TDT og SCD.

TRIN 1: Før behandlingen med Casgevy vil en læge give dig et **mobiliserende lægemiddel**. Dette lægemiddel flytter blodstamceller fra knoglemarven ind i blodkredsløbet. Cellerne opsamles derefter i en maskine, der adskiller de forskellige blodlegemer (dette kaldes *afere*se). Hele dette trin kan finde sted mere end én gang. Hvert indsamlingstrin tager cirka en uge.

'**Nødceller**' indsamles og opbevares også på hospitalet. Disse er dine eksisterende blodstamceller, og de opbevares ubehandlet i tilfælde af, at der er et problem i behandlingsprocessen. Se ovenfor i pkt. 2, "*Hvis Casgevy-behandlingen ikke kan gennemføres eller mislykkes*".

TRIN 2: Dine blodstamceller sendes til produktionsstedet, hvor de **bruges til at producere Casgevy**. Det kan tage op til 6 måneder fra det tidspunkt, hvor dine celler indsamles, at producere og teste Casgevy, før det sendes tilbage til din læge.

TRIN 3: Kort før din stamcelletransplantation vil lægen give dig et **konditionerende lægemiddel** på hospitalet. Dette trin tager ca. 2-6 dage og vil forberede dig på behandlingen ved at fjerne celler fra knoglemarven, så de kan erstattes med de modificerede celler i Casgevy. Når du har fået dette

lægemiddel, vil antallet af blodlegemer falde til meget lave niveauer (se pkt. 4). Du skal opholde dig på hospitalet fra dette tidspunkt indtil efter Casgevy-infusionen.

TRIN 4: Et eller flere hætteglas med Casgevy vil blive indgivet som en injektion i en vene gennem et centralt venekateter. Centrale venekatetre er tynde, bøjelige slanger, som lægen indfører i en stor vene for at få adgang til dit blodkredsløb. Katetre indebærer en risiko for infektioner og dannelse af blodpropper. Lægen og sygeplejerskerne vil overvåge dig for eventuelle komplikationer som følge af det centrale venekateter. Det kan tage et par timer, før alle injektionerne er givet. Efter du har fået Casgevy skal du blive på hospitalet, så dit sundhedsteam kan overvåge din bedring nøje. Dette kan tage ca. 2 måneder, men det kan variere. En læge vil beslutte, hvornår du kan tage hjem.

4. Bivirkninger

Dette lægemiddel kan som alle andre lægemidler give bivirkninger, men ikke alle får bivirkninger. Kontakt lægen eller sygeplejersken om mulige bivirkninger.

Nogle bivirkninger er relateret til det mobiliserende lægemiddel og det konditionerende lægemiddel. Du bør også læse indlægssedlerne for disse lægemidler.

Følgende alvorlige bivirkninger kan forekomme inden for de første par dage eller uger efter behandlingen, men kan også udvikle sig meget senere.

- Smerter i højre øvre del af maven under ribbenene, gulfarvning af øjnene eller huden, hurtig vægtøgning, hævelse af arme, ben og mave og åndedrætsbesvær.
Det kan være tegn på en alvorlig leversygdom kaldet veno-okklusiv sygdom.
- Svær hovedpine, unormale blå mærker, langvarig blødning eller blødning uden skade, såsom næseblod, blødning fra tandkødet, blod i urin, afføring eller opkast eller ophostning af blod.
Det kan være tegn på trombocytopeni, lave niveauer af blodplader, hvilket kan nedsætte blodets evne til at størkne og føre til blødning.
- Feber, kulderystelser eller infektioner.
Det kan være tegn på neutropeni, lave niveauer af hvide blodlegemer kaldet neutrofiler, der bekæmper infektioner.

Fortæl det straks til lægen, hvis du får nogen af de bivirkninger, der er anført ovenfor.

Andre bivirkninger, der forekommer med det mobiliserende lægemiddel og ved celleindsamling

Meget almindelige (kan forekomme hos flere end 1 ud af 10 personer)

- kvalme
- opkastning
- hovedpine
- mavesmerter
- muskel- og knoglesmerter

Almindelige (kan forekomme hos op til 1 ud af 10 personer)

- lungetilstand med symptomer som pludselige brystsmertter, åndedrætsbesvær og tegn på væskeophobning i lungerne på et røntgenbillede af brystet, hvilket forekommer ved seglcellesygdom (akut brystsyndrom)
- smertefuld seglcellekrise (seglcelleanæmi med krise)
- feber
- høje niveauer af hvide blodlegemer (leukocytose)
- diarré
- smerter i munden og halsen
- følelsesløshed i munden
- ledsmerter

- generelle smerter
- træthed
- lavt kaliumniveau i blodet (hypokaliæmi)
- lavt magnesiumniveau i blodet (hypomagnesæmi)
- højt fosfatniveau i blodet (hyperfosfatæmi)

Andre bivirkninger, der forekommer med det konditionerende lægemiddel

Meget almindelige (kan forekomme hos flere end 1 ud af 10 personer)

- feber i en periode med et lavt neutrofiltal (en type hvide blodlegemer) (febril neutropeni)
- lavt niveau af røde blodlegemer (anæmi)
- lavt niveau af lymfocytter, en type hvide blodlegemer (lymfopeni)
- lavt niveau af hvide blodlegemer (leukopeni)
- lavt kaliumniveau i blodet (hypokaliæmi)
- højt fosfatniveau i blodet (hyperfosfatæmi)
- lavt magnesiumniveau i blodet (hypomagnesæmi)
- lavt fosfatniveau i blodet (hypofosfatæmi)
- væskeophobning
- hovedpine
- feber
- træthedsfølelse
- næseblod
- kvalme
- opkastning
- mavesmerter
- betændelse i slimhinden i mavesækken
- forstoppelse
- diarré
- smerter i munden og halsen
- betændelse i slimhinder, såsom tandkød (mukositis)
- nedsat appetit
- vægttab
- muskel- eller knoglesmerter
- tør hud
- skællende hud
- misfarvning af hud og negle
- bittesmå blodpletter under huden
- udslæt
- hårtab (alopeci)
- højt niveau af bilirubin i blodet, et nedbrydningsprodukt fra røde blodlegemer, hvilket kan forårsage gulfarvning af huden og øjnene (hyperbilirubinæmi)
- forhøjede niveauer af et leverenzym i blodet (alaninaminotransferase)

Almindelige (kan forekomme hos op til 1 ud af 10 personer)

- lungebetændelseslignende symptomer, såsom feber, kulderystelser, hoste og åndedrætsbesvær, der opstår uden tegn på infektion i lungerne (idiopatisk pneumonisyndrom)
- manglende evne i lungerne til at ilte blodet (respirationssvigt)
- vejrtrækningsbesvær
- infektion i blodet (sepsis)
- infektion i blodet forårsaget af bakterien *Klebsiella* (*Klebsiella sepsis*)
- lungebetændelse (pneumoni)
- infektion i munden forårsaget af en svamp (oral candidiasis)
- infektion i hårfolliklerne (follikulitis)

- øget hjerterefrekvens (takykardi)
- forhøjede niveauer af leverenzymmer i blodet (aspartataminotransferase, gamma-glutamyltransferase)
- lavt blodtryk (hypotension)
- lave ilt-niveauer i blodet (hypoxi)
- forstørret lever
- forstørret milt
- nerveskade i arme og/eller ben, hvilket forårsager smerte eller følelsesløshed, brænden og prikken (perifer neuropati)
- problemer med nerverne, hvilket forårsager smerter eller følelsesløshed, brændende og stikkende fornemmelse (perifer sensorisk neuropati)
- nervesmerter
- problemer med smagssansen
- sløret syn
- tørre øjne
- hedeture
- hoste
- fordøjelsesbesvær
- sygdom, hvor mavesyren stiger op fra mavesækken og ind i spiserøret (gastroøsofageal refluks sygdom)
- tandkødsblødning (gingival blødning)
- ondt i halsen
- synkebesvær
- betændelse i tyktarmen, der forårsager smerter og diarré (kolitis)
- betændelse i spiserøret (øsofagitis)
- blod i opkast
- rektalblødning
- betændelse i mavesæk og tarm
- mundsår
- generelle smerter
- smertefuld vandladning
- blod i urinen
- udeblevet menstruation
- blødning mellem menstruationer
- uregelmæssig menstruation
- smerter i vulva og skeden
- tidlig overgangsalder
- vægtøgning
- blå mærker
- kløe
- hudrødme
- rifter eller afskrabninger af huden
- lavt niveau af alle typer blodlegemer (pancytopeni)
- lavt niveau af retikulocytter, en type umodne røde blodlegemer (reticulocytopeni)
- blødning i et område i hjernen, der er involveret i balance og koordination (cerebellar blødning)
- unormal ophobning af væske, der omgiver hjernen og rygmarven (hydrocephalus)
- lavt niveau af albumin, et protein i blodet (hypoalbuminæmi)
- lavt niveau af calcium i blodet (hypocalcæmi)
- ledsmerter
- længere tid for dit blod at størkne
- højere niveau af en indikator for inflammation (C-reaktivt protein)
- længere tid før de transplanterede celler begynder at vokse og danne normale blodlegemer (forsinket engraftment)

Andre bivirkninger, der forekommer med Casgevy

Almindelige (kan forekomme hos op til 1 ud af 10 personer)

- immunsystemforstyrrelse (hæmofagocytisk lymfohistiocytose), hvor typer af hvide blodlegemer (histiocytter og lymfocytter) ophobes i organer og forårsager kraftig inflammation og vævsdestruktion. Symptomerne kan omfatte feber, der ikke skyldes infektion og ikke responderer på antibiotika, en forstørret lever og/eller milt, hududslæt, vejrtrækningsproblemer, tendens til blå mærker, lavt blodtryk, nyreabnormaliteter og hjerteproblemer
- åndedrætsbesvær, som kan kræve ilt for at hjælpe dig med at trække vejret, nogle gange med smerter i brystet, feber, kulderystelser eller hoste (akut respiratorisk distress-syndrom)
- lungebetændelseslignende symptomer, såsom feber, kulderystelser, hoste og åndedrætsbesvær, der opstår uden tegn på infektion i lungerne (idiopatisk pneumonisyndrom)
- øget hjerterefrekvens (takykardi)
- lavt niveau af røde blodlegemer (anæmi)
- lavt niveau af hvide blodlegemer (leukopeni)
- lavt niveau af calcium i blodet (hypocalcæmi)
- hovedpine
- fornemmelser som følelsesløshed, prikken og stikken (paræstesi)
- næseblod
- udslæt
- bittesmå blodpletter under huden
- feber
- kulderystelser
- længere tid før de transplanterede celler begynder at vokse og danne normale blodlegemer (forsinket engraftment)
- hændelser såsom kulderystelser og øget hjerterefrekvens på tidspunktet, hvor du får Casgevy (infusionsrelaterede reaktioner)

Fortæl det til lægen eller sygeplejersken, hvis du oplever nogen af disse bivirkninger. **Fortæl det straks til lægen eller sygeplejersken**, hvis nogen af disse bivirkninger bliver forværret.

Indberetning af bivirkninger

Hvis du oplever bivirkninger, bør du tale med din læge eller sygeplejersken. Dette gælder også mulige bivirkninger, som ikke er medtaget i denne indlægsseddel. Du eller dine pårørende kan også indberette bivirkninger direkte til Lægemiddelstyrelsen via:

Lægemiddelstyrelsen
Axel Heides Gade 1
DK-2300 København S
Websted: www.meldenbivirkning.dk

Ved at indrapportere bivirkninger kan du hjælpe med at fremskaffe mere information om sikkerheden af dette lægemiddel.

5. Opbevaring

Nedenstående oplysninger er kun til læger og sygeplejersker.

Da dette lægemiddel vil blive givet af en kvalificeret læge eller sygeplejerske, er de ansvarlige for korrekt opbevaring af lægemidlet før og under dets anvendelse samt for korrekt bortskaffelse.

Opbevar lægemidlet utilgængeligt for børn.

Brug ikke lægemidlet efter den udløbsdato, der står på æsken og på hvert hætteglas.

Opbevares nedfrosset ved eller under $-135\text{ }^{\circ}\text{C}$ i op til to år. Opbevar hætteglasset/hætteglassene i æsken, indtil det er tid til optøning. Ét hætteglas optøs ad gangen. Må ikke optøs, før du er klar til infusion. Må ikke nedfryses igen efter optøning. Når det er optøet, opbevares det ved stuetemperatur ($20\text{ }^{\circ}\text{C}$ til $25\text{ }^{\circ}\text{C}$) og infunderes inden for 20 minutter.

Dette lægemiddel indeholder humane blodlegemer. Ikke anvendt lægemiddel skal bortskaffes i overensstemmelse med lokale retningslinjer om håndtering af humant materiale.

6. Pakningsstørrelser og yderligere oplysninger

Casgevy indeholder:

- Aktivt stof: exagamglogeneautotemcel. Hver ml Casgevy indeholder $4\text{--}13 \times 10^6$ celler (blodstamceller).
- Øvrige indholdsstoffer: en opløsning, der anvendes til konservering af frosne celler, som indeholder natrium, dimethylsulfoxid (DMSO) og dextran 40. Se pkt. 2 "Det skal du vide, før du begynder at få Casgevy".

Udseende og pakningsstørrelser

Casgevy er en halvgennemsigtig infusionsvæske, dispersion. Casgevy leveres i hætteglas indeholdende 1,5 ml til 20 ml. Et eller flere hætteglas er pakket i en æske. En æske kan indeholde op til 9 hætteglas. Antallet af hætteglas er specifikt for hver patients dosis. Din dosis kan bestå af flere hætteglas og æsker.

Dit navn og din fødselsdato samt kodede oplysninger, der identificerer dig som den tilsigtede modtager, er printet på hver æske og hætteglas.

Indehaver af markedsføringstilladelsen og fremstiller

Indehaver af markedsføringstilladelsen:

Vertex Pharmaceuticals (Ireland) Limited
Unit 49, Block 5, Northwood Court, Northwood Crescent,
Dublin 9, D09 T665,
Irland
Tlf.: +353 (0)1 761 7299

Fremstiller:

Vertex Pharmaceuticals (Europe) Limited
Unit 49, Block 5, Northwood Court, Northwood Crescent,
Dublin 9, D09 T665,
Irland

Lonza Netherlands B.V.
Urmonderbaan 20 B
6167 RD Geleen
Holland

Hvis du ønsker yderligere oplysninger om dette lægemiddel, skal du henvende dig til den lokale repræsentant for indehaveren af markedsføringstilladelsen:

België/Belgique/Belgien, България, Česká republika, Danmark, Deutschland, Eesti, France, Hrvatska, Ireland, Ísland, Κύπρος, Latvija, Lietuva, Luxembourg/Luxemburg, Magyarország, Malta, Nederland, Norge, Österreich, Polska, Portugal, România, Slovenija, Slovenská republika, Suomi/Finland, Sverige

Vertex Pharmaceuticals (Ireland) Limited
Tél/Tel/Тел/Τηλ/Σίμι/Τηλ/Рuh:
+353 (0) 1 761 7299

España

Vertex Pharmaceuticals Spain, S.L.
Tel: + 34 91 7892800

Ελλάδα

Vertex Φαρμακευτική Μονοπρόσωπη Ανώνυμη
Εταιρία
Τηλ: +30 (211) 2120535

Italia

Vertex Pharmaceuticals
(Italy) S.r.l.
Tel: +39 0697794000

Denne indlægsseddel blev senest ændret 12/2024.

Dette lægemiddel er godkendt under "betingede omstændigheder".

Det betyder, at der forventes yderligere dokumentation for lægemidlet.

Det Europæiske Lægemiddelagentur vil mindst en gang om året vurdere nye oplysninger om lægemidlet, og denne indlægsseddel vil om nødvendigt blive ajourført.

Andre informationskilder

Du kan finde yderligere oplysninger om dette lægemiddel på Det Europæiske Lægemiddelagenturs hjemmeside <https://www.ema.europa.eu>.

Denne indlægsseddel findes på alle EU-/EØS-sprog på Det Europæiske Lægemiddelagenturs hjemmeside.

Kun til sundhedspersoner

Nedenstående oplysninger er kun til sundhedspersoner:

Sikkerhedsforanstaltninger, der skal træffes før håndtering og administration af lægemidlet

Casgevy er kun beregnet til autolog anvendelse. Der må ikke udtages en prøve eller foretages ændringer eller bestråling af lægemidlet. Bestråling kan medføre inaktivering af præparatet.

Dette lægemiddel indeholder humane blodlegemer. Sundhedspersoner, der håndterer Casgevy, skal træffe passende forholdsregler (bære handsker, beskyttelsesdragt og øjenværn) for at undgå potentiel overførsel af infektionssygdomme.

Modtagelse og opbevaring af Casgevy

- Casgevy sendes til behandlingscenteret i en kryobeholder.
- Bekræft patientidentifikatorer på præparatetiketten/-etiketterne og batchinformationsarket (LIS).
- Opbevares i dampfasen af flydende nitrogen ved $\leq -135^{\circ}\text{C}$, indtil det er tid til optøning og administration.

Klargøring inden administration

- Tidspunktet for optøning og infusion af Casgevy koordineres. Infusionstiden bekræftes på forhånd, og starttidspunktet for optøningen justeres, så Casgevy er tilgængelig til infusion, når patienten er klar, da Casgevy skal administreres inden for 20 minutter efter optøning af hætteglasset. Ét hætteglas optøs og infunderes ad gangen.
- Før optøning skal det bekræftes, at patientens identitet stemmer overens med patientoplysningerne på hætteglasset/-glassene med Casgevy. Hætteglassene med Casgevy må ikke optøs, hvis oplysningerne på den patientspecifikke etiket ikke stemmer overens med den tilsigtede patient.
- En dosis Casgevy kan være indeholdt i et eller flere kryokonserverede patientspecifikke hætteglas. Der redegøres for alle hætteglas, og det bekræftes, at hvert hætteglas er inden for udløbsdatoen, ved hjælp af det medfølgende batchinformationsark (LIS).
- Det nødvendige udstyr til optøning og optrækning af præparatet fra hætteglasset/hætteglassene samles. Med undtagelse af vandbadet er dette udstyr til engangsbrug. Tilstrækkeligt udstyr til hvert hætteglas, der skal administreres, samles:
 - Vandbad
 - Spritservietter
 - Hætteglasadapter (for at muliggøre kanylsløs ekstraktion)
 - 18 mikron rustfrit stålfilter
 - 30 ml luer-lock sprøjte
 - Natriumchlorid 9 mg/ml (0,9 %) injektionsvæske, opløsning (der skal bruges 5 til 10 ml til hvert hætteglas)
 - 10 ml luer-lock-sprøjte til skylning med natriumchloridopløsning

Optøning af hætteglassene med Casgevy

- Når dosis består af flere hætteglas, optøs og administreres ét hætteglas ad gangen. Under optøning af et hætteglas skal de resterende hætteglas forblive i kryoopbevaring ved $\leq -135^{\circ}\text{C}$.
- Hvert hætteglas optøs ved en temperatur på 37°C i vandbad. Sørg for, at vandbadstemperaturen ikke overstiger 40°C .
- Hvert hætteglas optøs ved at holde om hætteglassets hals, og forsigtigt omryste med uret og mod uret. Dette kan tage fra 10 til 15 minutter. Hætteglasset må ikke efterlades uden opsyn under optøningen.

- Optøningen er færdig, når der ikke længere er synlige iskrystaller i hætteglasset.
- Hætteglasset fjernes straks fra vandbadet efter optøning.
- Det optøede præparat skal fremstå som en gennemsigelig celsuspension uden fremmede partikler.
- Infunderes inden for 20 minutter efter optøning.
- Optøet lægemiddel må ikke nedfryses igen.

Administration af Casgevy

Casgevy er kun til autolog anvendelse. Patientens identitet skal stemme overens med patientidentifikatorerne på hætteglasset/-glassene med Casgevy. Casgevy må ikke infunderes, hvis oplysningerne på den patientspecifikke etiket ikke stemmer overens med den tilsigtede patient.

En patients dosis kan bestå af flere hætteglas. Alle hætteglas skal administreres. Hele volumen af hvert hætteglas skal infunderes. Hvis der leveres mere end ét hætteglas, **skal hvert hætteglas administreres fuldstændigt, før optøning og infusion af det næste hætteglas.**

1. Påsætning af hætteglasadapteren og filteret

- *Flip-away*-fligen på hætteglashætten fjernes, og septum rengøres med en spritserviet.
- Hætten på adapterspidsen fjernes.
- Med tommel- og pegefinger på begge hænder skubbes adapteren ind i hætteglassets septum, og der trykkes med et jævnt tryk, indtil der høres et enkelt smæld.
- Adapteren trækkes op, indtil du mærker, at den låser.
- Filteret sættes på hætteglasadapteren.

2. Optrækning af Casgevy fra hætteglasset

- En tom 30 ml sprøjte sættes på filteret.
- Hele hætteglassets præparatvolumen trækkes op.
- Sprøjten fyldt med præparat fjernes fra filteret og lægges til side.
- 5–10 ml natriumchlorid 9 mg/ml (0,9 %) injektionsvæske, opløsning trækkes op i den tomme 10 ml sprøjte.
- Sprøjten fyldt med natriumchloridopløsning sættes på filteret.
- Natriumchloridopløsningen injiceres, og den tomme sprøjte fjernes fra filteret. Den tomme sprøjte kasseres.
- Sprøjten fyldt med præparat sættes på filteret.
- Indholdet af hætteglasset trækkes op i præparatsprøjten, og sprøjten fjernes derefter fra filteret.
- Den valgfrie præparat-/patientidentifikationsetiket kan fjernes fra batchinformationsarket (LIS) og sættes på sprøjten.

3. Administration af Casgevy gennem et centralt venekateter

- Casgevy skal administreres inden for 20 minutter efter optøning af præparatet.
- Der skal udføres en topersoners bekræftelse og verifikation af patientens identifikation ved sengen før infusion af hvert hætteglas.
- Casgevy administreres som en intravenøs bolus.
- Det samlede volumen Casgevy, der administreres i løbet af en time, må ikke overstige 2,6 ml/kg.
- Brug ikke et *inline*-filter, når Casgevy infunderes.
- Efter administration af hvert hætteglas med Casgevy skylles den primære slange med natriumchlorid 9 mg/ml (0,9 %) injektionsvæske, opløsning.

Ovenstående trin gentages for hvert resterende hætteglas.

Foranstaltninger, der skal træffes i tilfælde af utilsigtet eksponering

Ved utilsigtet eksponering skal de lokale retningslinjer for håndtering af humant materiale følges. Arbejdsflader og materialer, som potentielt har været i kontakt med Casgevy, skal dekontamineres med passende desinfektionsmiddel.

Forholdsregler, der skal trækkes i forbindelse med bortskaffelse af lægemidlet

Ikke anvendt lægemiddel og alt materiale, der har været i kontakt med Casgevy (fast og flydende affald), skal håndteres og bortskaffes som potentielt infektiøst affald i overensstemmelse med lokale retningslinjer om håndtering af humant materiale.