

Informační leták pro rodiče a opatrovníky

Důležité informace pro minimalizaci rizik při následném sledování dětí po léčbě genovou terapií přípravkem STRIMVELIS®▼ (autologní buňky CD34+ transdukované pro expresi ADA)

Nové léky jsou označeny symbolem obráceného černého trojúhelníku (▼), který poukazuje na skutečnost, že tyto léky podléhají dalšímu sledování, což umožňuje rychlé získání nových informací o bezpečnosti. Můžete být nápomocni tím, že nahlásíte veškerá podezření na vedlejší účinky nebo příznaky, které u svého dítěte zaznamenáte – kontaktní údaje naleznete na konci tohoto letáku.

Informace v tomto letáku

Informace uvedené v tomto letáku jsou nezbytné pro zajištění efektivního průběhu sledování Vašeho dítěte s ADA-SCID po genové terapii přípravkem Strimvelis® a popisují, proč a jak by toto sledování mělo probíhat. Přečtěte si prosím tento leták pozorně a kontaktujte svého lékaře, pokud budete mít jakékoli dotazy.

Ošetřující lékař bude v průběhu času pravidelně sledovat zdravotní stav Vašeho dítěte ohledně vybraných rizik vysvětlených v tomto letáku a případných dalších příznaků. Měl/a byste jej/ji informovat o veškerých příznacích či obavách.

Genová terapie ADA-SCID a riziko nádorového onemocnění krve

Způsob, jakým je pracovní kopie genu pro ADA vložena do buněk kostní dřeně Vašeho dítěte, může potenciálně poškodit genetický materiál v těchto buňkách. To může Vaše dítě vystavit riziku leukemie, druhu nádorového onemocnění postihujícího bílé krvinky. U žádného z dětí, které bylo léčeno přípravkem Strimvelis®, nedošlo ke vzniku leukemie, existuje však malé riziko, že by k tomu mohlo dojít v budoucnu. Je proto důležité sledovat Vaše dítě, zda se u něj příznaky leukemie neobjeví.

Mezi příznaky leukemie patří horečka, dušnost, bledost, noční pocení, únava, zvětšení lymfatických uzlin, časté infekce a sklon k snadnému krvácení a/nebo vzniku modřin či malých červených nebo purpurových teček pod kůží. Pokud se u Vašeho dítěte objeví některý z těchto příznaků, měli byste prosím neprodleně kontaktovat Vašeho ošetřujícího lékaře a v případě, že jste souhlasili se zařazením do registru pacientů, prosíme kontaktujte také osobu, na níž je uvedeno spojení na konci tohoto letáku.

Během pravidelných každoročních kontrol, které budou probíhat po dobu minimálně několika let a možná i déle po provedení léčby, bude ošetřující lékař ověřovat, zda krev Vašeho dítěte nevykazuje známky leukemie.

Autoimunita

Jedná se o stav, kdy imunitní systém organismu považuje vlastní tkáň a buňky za cizí a napadá je, přestože jsou zdravé. Protože u dětí s ADA-SCID nefunguje imunitní systém správně, mívají často autoimunitní poruchy ještě před léčbou. Autoimunitní poruchy se také mohou objevit po léčbě, zejména v prvních třech letech, kdy se rozvíjí imunitní systém dítěte.

Projevy autoimunity mohou být mírné jako například pozitivita vyšetření krve na antinukleární protilátky bez jakýchkoliv příznaků a klinických známek nebo se mohou projevit příznaky autoimunitního onemocnění různé závažnosti, jako je například anémie nebo porucha funkce jater. Pravděpodobnost autoimunitních problémů po genové terapii je vyšší, pokud Vaše dítě tyto problémy mělo už před léčbou nebo pokud se autoimunita objevila v rodinné anamnéze.

Mezi příznaky patří vysoká teplota, vyrážka, bolest kloubů, bolest nebo slabost svalů, pocit únavy nebo nevolnosti přetrvávající po většinu času. Ošetřující lékař se při následné kontrole Vašeho dítěte zaměří na známky autoimunity. Vy sami můžete pomoci tím, že mu neprodleně oznámíte veškeré příznaky a že je také nahlásíte prostřednictvím kontaktních údajů uvedených na konci tohoto letáku.

Nedostatečná odpověď na léčbu

Genová terapie slouží k léčbě imunologických projevů ADA-SCID včetně častých těžkých infekcí, není však pravděpodobné, že by pomohla řešit neimunologické projevy, jako je ztučnění jater (steatóza), zhoršený sluch či poruchy chování. Nicméně výskyt neimunologických příznaků nemusí nutně znamenat, že organismus Vašeho dítěte vykazuje nedostatečnou reakci na genovou terapii. Váš lékař při pravidelných následných kontrolách dítěte vyšetří ohledně obou aspektů ADA-SCID.

Měl/a byste neprodleně kontaktovat ošetřujícího lékaře, máte-li podezření, že se reakce Vašeho dítěte na genovou terapii snížila (např. se objevily příznaky infekce, jako je horečka, kašel, průjem, případně bolest při močení). Měly by být provedeny krevní a další testy s cílem ověřit stav imunitního systému a to, zda funkce enzymu ADA navozená přípravkem Strimvelis® je dostatečná. Pokud tyto testy potvrdí, že je reakce nedostatečná, může stále u Vašeho dítěte připadat v úvahu substituční enzymatická léčba nebo transplantace kostní dřeně.

Těhotenství

Po léčbě přípravkem Strimvelis® se doporučuje zabývat se v náležitě době otázkami plánování rodičovství, protože tento přípravek neslouží k nápravě genetické vady v reprodukčních buňkách Vašeho dítěte a jeho účinky na těhotenství nejsou dosud známy. Ošetřující lékař Vám bude moci poskytnout poradenství v otázkách plánování rodičovství, až podle Vás nebo Vašeho dítěte s ohledem na jeho věk nastane vhodný čas.

Za účelem dlouhodobého sběru informací o bezpečnosti od lékařů a rodičů/opatrovníků dětí, které byly léčeny přípravkem Strimvelis®, vznikl samostatný registr, o kterém jste již byl/a informován/a; pokud jste o tomto registru neslyšel/a, zeptejte se na něj prosím ošetřujícího lékaře.

Hlášení podezření na nežádoucí účinky léčby

Jakékoli podezření na závažný nebo neočekávaný nežádoucí účinek a jiné skutečnosti závažné pro zdraví léčených osob musí být hlášeny Státnímu ústavu pro kontrolu léčiv. Podrobnosti o hlášení najdete na: <http://www.olecich.cz/hlaseni-pro-sukl/nahlasit-nezadouci-ucinek>. Adresa pro zaslání je: Státní ústav pro kontrolu léčiv, oddělení farmakovigilance, Šrobárova 48, Praha 10, 100 41, email: farmakovigilance@sukl.cz.

<Pokud se u Vašeho dítěte vyskytne kterýkoli z nežádoucích účinků, sdělte to svému lékaři nebo lékárníkovi. Stejně postupujte i v případě jakýchkoli nežádoucích účinků, které nejsou uvedeny v příbalové informaci. Nežádoucí účinky můžete hlásit také přímo prostřednictvím národního systému hlášení nežádoucích účinků. Podrobnosti o hlášení najdete na: <http://www.olecich.cz/hlaseni-pro-sukl/nahlasit-nezadouci-ucinek>

Adresa pro zaslání je Státní ústav pro kontrolu léčiv, oddělení farmakovigilance, Šrobárova 48, Praha 10, 100 41, email: farmakovigilance@sukl.cz.

Je vhodné doplnit i přesný obchodní název a číslo šarže. Nahlášením nežádoucích účinků můžete přispět k získání více informací o bezpečnosti tohoto přípravku.

Doporučuje se, aby toto hlášení bylo zajištěno lékařem, prosíme informujte se, zda lékař hlásil.

Podezření na jakoukoliv nežádoucí příhodu můžete také hlásit společnosti GlaxoSmithKline prostřednictvím mailboxu cz.safety@gsk.com.

Kontaktní údaje na registr pacientů:.....

Tento materiál byl připraven na základě požadavku SUKL a Evropské lékové agentury GlaxoSmithKline s.r.o., Hvězdova 1734/2c, 140 00 Praha 4; tel.: 222 001 111, fax: 222 001 444; e-mail: cz.info@gsk.com; www.gsk.cz.