Packungsbeilage: Information für Patienten oder Betreuer

Libmeldy 2–10 × 10^6 Zellen/ml Infusionsdispersion
Atidarsagen autotemcel

▼Dieses Arzneimittel unterliegt einer zusätzlichen Überwachung. Dies ermöglicht eine schnelle Identifizierung neuer Erkenntnisse über die Sicherheit. Sie können dabei helfen, indem Sie jede Nebenwirkung melden, die bei Ihrem Kind möglicherweise auftritt. Hinweise zur Meldung von Nebenwirkungen, siehe Ende Abschnitt 4.

Lesen Sie die gesamte Packungsbeilage sorgfältig durch, bevor Ihrem Kind dieses Arzneimittel gegeben wird, denn sie enthält wichtige Informationen.

- Heben Sie die Packungsbeilage auf. Vielleicht möchten Sie diese später nochmals lesen.
- Wenn Sie weitere Fragen haben, wenden Sie sich den Arzt bzw. die Ärztin Ihres Kindes oder an das medizinische Fachpersonal.
- Der Arzt bzw. die Ärztin Ihres Kindes oder das medizinische Fachpersonal wird Ihnen einen Patientenpass aushändigen. Lesen Sie diesen Patientenpass sorgfältig durch und befolgen Sie die Instruktionen darauf.
- Zeigen Sie den Patientenpass bei jedem Arztbesuch und bei jeder Krankenhauseinweisung Ihres Kindes dem Arzt oder dem medizinischen Fachpersonal.
- Wenn Sie bei Ihrem Kind Nebenwirkungen bemerken, wenden Sie sich an den Arzt bzw. die Ärztin Ihres Kindes oder an das medizinische Fachpersonal. Dies gilt auch für Nebenwirkungen, die nicht in dieser Packungsbeilage angegeben sind. Siehe Abschnitt 4.

Was in dieser Packungsbeilage steht

1. Was ist Libmeldy und wofür wird es angewendet?
2. Was sollten Sie beachten, bevor Ihr Kind Libmeldy erhält?
3. Wie wird Libmeldy angewendet?
4. Welche Nebenwirkungen sind möglich?
   Nebenwirkungen des Arzneimittels zur Konditionierung
   Nebenwirkungen von Libmeldy
5. Wie ist Libmeldy aufzubewahren?
6. Inhalt der Packung und weitere Informationen

1. Was ist Libmeldy und wofür wird es angewendet?

Was ist Libmeldy?

Libmeldy ist eine Art von Arzneimittel, die als **Gentherapie** bezeichnet wird. Es wird speziell für Ihr Kind aus den eigenen Blutzellen Ihres Kindes hergestellt.

Wofür wird Libmeldy angewendet?

Libmeldy wird zur Behandlung einer schwerwiegenden Erkrankung mit der Bezeichnung metachromatische Leukodystrophie (MLD) angewendet:
- bei Kindern mit im späten Säuglings- oder frühen Kindesalter auftretenden Formen der Erkrankung, die noch keine Anzeichen oder Symptome entwickelt haben,
- bei Kindern mit der im frühen Kindesalter auftretenden Form der Erkrankung, die bereits Symptome entwickelt haben, welche sich aber noch nicht rapide verschlechtern.

Personen mit MLD weisen einen Fehler in dem Gen zur Bildung eines als Arylsulfatase A (ARSA) bezeichneten Enzyms auf. Dies führt zu einer Ansammlung von Substanzen, die als *Sulfatide* bezeichnet werden, im Gehirn und im Nervensystem, was zu einer Schädigung des Nervensystems und

einem fortschreitenden Verlust der körperlichen Fähigkeiten und später der geistigen Fähigkeiten und schlussendlich zum Tod führt.

Wie wirkt Libmeldy?

Ihrem Kind werden aus dem Blut *Stammzellen* entnommen und anschließend im Labor verändert, um ihnen ein funktionierendes Gen zur Herstellung von ARSA einzusetzen. Wenn Ihr Kind Libmeldy erhält, das aus diesen veränderten Zellen besteht, beginnen die Zellen mit der Herstellung von ARSA, um die Sulfatide in den Nervenzellen und anderen Zellen des Körpers Ihres Kindes abzubauen. Dadurch soll sich das Fortschreiten der Erkrankung verlangsamen und die Lebensqualität Ihres Kindes verbessern.

Libmeldy wird durch einen Tropf (*Infusion*) in eine Vene (*intravenös*) verabreicht. Weitere Informationen darüber, was vor und während der Behandlung passiert, finden Sie in Abschnitt 3, *Wie wird Libmeldy angewendet?*

Wenn Sie Fragen zur Wirkungsweise von Libmeldy haben oder dazu, warum Ihrem Kind dieses Arzneimittels verordnet worden ist, wenden Sie sich bitte an den Arzt bzw. die Ärztin Ihres Kindes.

2. Was sollten Sie beachten, bevor Ihr Kind Libmeldy erhält?

Ihr Kind darf Libmeldy nicht erhalten,

- wenn Ihr Kind allergisch gegen einen der in Abschnitt 6 genannten sonstigen Bestandteile dieses Arzneimittels ist. Wenn Sie denken, dass Ihr Kind möglicherweise allergisch sein könnte, fragen Sie Ihren Arzt bzw. Ihre Ärztin um Rat.
- wenn Ihr Kind bereits zuvor eine Gentherapie erhalten hat, die aus seinen eigenen Blutstammzellen hergestellt wurde.
- wenn Ihr Kind gegen einen der sonstigen Bestandteile der Arzneimittel, die Ihr Kind vor der Behandlung mit Libmeldy erhält, allergisch ist oder der wenn Ihr Arzt bzw. Ihre Ärztin der Ansicht ist, dass diese Arzneimittel bei Ihrem Kind inakzeptable Nebenwirkungen haben würden (siehe Abschnitt 3).

Warnhinweise und Vorsichtsmaßnahmen

Bitte sprechen Sie mit Ihrem Arzt, bevor Ihr Kind Libmeldy erhält.

- Informationen über zellbasierte Arzneimittel wie Libmeldy müssen 30 Jahre im Krankenhaus aufbewahrt werden. Was Ihr Kind anbelangt, so werden der Name Ihres Kindes und die Chargennummer des bei ihm angewendeten Libmeldy-Präparats aufbewahrt.

- Libmeldy wird aus den Stammzellen Ihres Kindes hergestellt und darf nur Ihrem Kind verabreicht werden.

Vor der Behandlung mit Libmeldy

- Bevor eine Entscheidung zur Anwendung von Libmeldy getroffen wird, findet eine ärztliche Beurteilung Ihres Kindes statt, um zu bestätigen, dass es an MLD leidet, und um es auf Symptome und Auswirkungen seiner Erkrankung zu untersuchen. Möglicherweise weist Ihr Kind zum Zeitpunkt der Eingangsuntersuchung keine körperlichen Anzeichen der Krankheit auf.
  Wenn die MLD Ihres Kindes vor Beginn der Behandlung fortgeschritten ist und sich verschlechtert hat, stellt der Arzt bzw. die Ärztin unter Umständen fest, dass die Erkrankung eine „schnell fortschreitende Phase“ erreicht hat. In diesem Fall kann es sein, dass Ihr Kind keinen Nutzen aus der Behandlung zieht und der Arzt bzw. die Ärztin Ihres Kindes eventuell beschließt, Libmeldy nicht zu geben.

- Ihr Kind wird möglicherweise Arzneimittel erhalten, die als **Mobilisierungs-** und **Konditionierungsmittel** bezeichnet werden (weitere Informationen zu diesen Arzneimitteln, einschließlich ihrer möglichen Nebenwirkungen, finden Sie in den Abschnitten 3 und 4).

- Zentrale Venenkatheter sind dünne, biegsame Schläuche, die vom Arzt in eine große Vene eingeführt werden, um Zugang zum Blutstrom Ihres Kindes zu erhalten. Die Risiken solcher Katheter sind Infektionen und die Bildung von Blutgerinnseln. Das ärztliche und medizinische Fachpersonal wird Ihr Kind im Hinblick auf Komplikationen mit dem zentralen Venenkatheter überwachen.

- Libmeldy wird auf das Vorhandensein infektiöser Mikroorganismen getestet, bevor es Ihrem Kind verabreicht wird. Es besteht ein geringes Infektionsrisiko. Ihr Kind wird vom ärztlichen und medizinischen Fachpersonal während der gesamten Infusion auf Anzeichen einer Infektion überwacht und erhält im Bedarfsfall eine Behandlung.

- Der Arzt bzw. die Ärztin wird die Schilddrüse Ihres Kindes untersuchen. Die Schilddrüse befindet sich im Hals und bildet Hormone, die wichtig sind, damit der Körper normal funktioniert. Bei Bedarf wird sie auch nach der Behandlung überwacht.

Nach der Behandlung mit Libmeldy

- Nach der Behandlung wird Ihr Kind eventuell gebeten, an einer **Studie zur Nachbeobachtung** über eine Dauer von bis zu 15 Jahren teilzunehmen, um die Langzeitauswirkungen von Libmeldy besser zu verstehen.

- Wenn Ihr Kind innerhalb der ersten 3 Monate nach Erhalt von Libmeldy eine Bluttransfusion benötigt, sollten die Blutprodukte bestrahlt sein. Das bedeutet, dass die weißen Blutkörperchen, Lymphozyten genannt, reduziert sind, um das Risiko einer Reaktion auf die Transfusion zu minimieren. Der Arzt bzw. die Ärztin wird Ihr Kind auf Bluttransfusionsreaktionen überwachen.

- Nach der Behandlung mit Libmeldy weist Ihr Kind eine Zeit lang eine niedrige Anzahl an Blutzellen auf. Dies betrifft infektionsbekämpfende Blutzellen, sogenannte Neutrophile, die mit einem einfachen Bluttest gemessen werden können. Wenn die Anzahl der Neutrophilen Ihres Kindes nach 60 Tagen immer noch niedrig ist, wird dies eventuell als „Scheitern der Regeneration nach der Transplantation“ oder „fehlendes Engraftment“ bezeichnet. In diesem Fall beschließt der Arzt bzw. die Ärztin Ihres Kindes möglicherweise, Ihrem Kind die zuvor entnommenen Zellen für die Reservetherapie zu verabreichen (siehe Abschnitt 3). Den Zellen für die Reservetherapie wird das funktionierende ARSA-Gen nicht hinzugefügt und sie produzieren daher kein ARSA-Enzym.

- Nach Erhalt des Konditionierungsmittels hat Ihr Kind möglicherweise eine geringe Anzahl von Blutplättchen im Blut. Das bedeutet, dass das Blut Ihres Kindes möglicherweise nicht normal gerinnen kann und Ihr Kind nach der Behandlung einige Zeit lang zu Blutungen neigt. Der Arzt bzw. die Ärztin wird die Anzahl der Blutplättchen bei Ihrem Kind mit einfachen Blutuntersuchungen überwachen und Ihr Kind bei Bedarf entsprechend behandeln, eventuell mit einer Transfusion von Blutplättchen, um deren Anzahl zu erhöhen.

- Es kann eine metabolische Azidose auftreten, bei welcher der Säuregehalt im Blut steigt. Dafür kann es viele verschiedene Gründe geben, und die Erkrankung tritt bei Patienten mit MLD häufiger auf. Zu den Symptomen einer metabolischen Azidose gehören Atemnot, schnelles Atmen, Übelkeit und Erbrechen. Der Arzt bzw. die Ärztin wird Ihr Kind auf Anzeichen und Symptome einer metabolischen Azidose überwachen.

- Das Einfügen eines neuen Gens in die Stammzellen könnte theoretisch zu Blutkrebs (Leukämie und Lymphom) führen. Nach der Behandlung wird Ihr Arzt bzw. Ihre Ärztin Ihr Kind auf Anzeichen einer Leukämie oder eines Lymphoms überwachen.

- In den klinischen Studien entwickelten einige Patienten Antikörper gegen das ARSA-Enzym, sogenannte Anti-ARSA-Antikörper (siehe Nebenwirkungen von Libmeldy in Abschnitt 4). Diese verschwanden von selbst oder nach der Behandlung mit entsprechenden Arzneimitteln. Der Arzt bzw. die Ärztin Ihres Kindes wird dessen Blut auf Anti-ARSA-Antikörper überwachen und Ihr Kind bei Bedarf behandeln.

- Nachdem Ihr Kind Libmeldy erhalten hat, finden bei ihm zur Kontrolle regelmäßige Blutuntersuchungen statt, beispielsweise mit einer Messung von Blut-Antikörpern, die als Immunglobuline bekannt sind. Wenn der Immunglobulinspiegel niedrig ist, benötigt Ihr Kind möglicherweise eine Immunglobulinersatztherapie. Der Arzt bzw. die Ärztin Ihres Kindes wird dies mit Ihnen besprechen, falls eine solche Therapie erforderlich sein sollte.

- Libmeldy wird unter Verwendung von Teilen des humanen Immundefizienzvirus (HIV) hergestellt. Diese wurden so verändert, dass sie keine Infektion verursachen können. Das veränderte Virus wird verwendet, um das ARSA-Gen in die Stammzellen Ihres Kindes einzusetzen. Libmeldy kann bei Ihrem Kind keine HIV-Infektion hervorrufen. Die Tatsache, dass es sich im Blut befindet, kann aber bei einigen kommerziellen Tests (sogenannten „PCR-basierten Tests“), die ein Stück HIV erkennen, das zur Herstellung von Libmeldy verwendet wird, zu einem falsch positiven HIV-Testergebnis führen. Wenn Ihr Kind nach der Libmeldy-Behandlung positiv auf HIV getestet wird, wenden Sie sich bitte an das für Kind zuständige ärztliche oder medizinische Fachpersonal.

- Nach einer Behandlung mit Libmeldy kann Ihr Kind kein Blut, keine Organe, Gewebe oder Zellen mehr spenden. Dies liegt daran, dass Libmeldy ein Gentherapieprodukt ist.

Bevor Ihr Kind Libmeldy erhält, wird der Arzt bzw. die Ärztin Folgendes überprüfen:

- Lunge, Herz, Nieren, Leber und Blutdruck Ihres Kindes.
- Vorliegen von Anzeichen einer Infektion. Jede Infektion wird behandelt, bevor Ihrem Kind Libmeldy verabreicht wird.
- Vorhandensein von Hepatitis B, Hepatitis C, des humanen lymphotropen T-Zell-Virus (HTLV), HIV oder Mykoplasmen.
- Ob Ihr Kind in den letzten 6 Wochen geimpft wurde oder ob in den nächsten Monaten eine Impfung geplant ist.

Wenn die Behandlung mit Libmeldy nicht bis zum Ende durchgeführt werden kann

Bevor Libmeldy verabreicht wird, erhält Ihr Kind ein Konditionierungsmittel, um Zellen aus dem Knochenmark zu entfernen.

Wenn Libmeldy nicht verabreicht werden kann, nachdem Ihr Kind das Konditionierungsmittel erhalten hat, oder wenn die veränderten Stammzellen im Körper Ihres Kindes nicht einwachsen („*Engraftment*“), beschließt der Arzt bzw. die Ärztin Ihres Kindes möglicherweise, Ihrem Kind die zuvor entnommenen Zellen für die Reservetherapie zu verabreichen (siehe auch Abschnitt 3 *Wie wird Libmeldy angewendet?*). Den Zellen für die Reservetherapie wird das funktionierende ARSA-Gen nicht hinzugefügt und sie produzieren daher kein ARSA-Enzym. Wenn Sie weitere Einzelheiten erfahren möchten, wenden Sie sich bitte an den Arzt bzw. die Ärztin Ihres Kindes.

Anwendung von Libmeldy zusammen mit anderen Arzneimitteln

Informieren Sie Ihren Arzt bzw. Ihre Ärztin, wenn Ihr Kind andere Arzneimittel einnimmt, kürzlich andere Arzneimittel eingenommen hat oder einnehmen könnte.

- Ihr Kind sollte ab mindestens einen Monat vor Erhalt der Mobilisationsmedikamente bis mindestens 7 Tage nach der Libmeldy-Infusion keine **Medikamente gegen eine HIV-Infektion** einnehmen (siehe auch Abschnitt 3, *Wie wird Libmeldy hergestellt und angewendet?)*

- Ihr Kind darf in den 6 Wochen vor dem Erhalt des Konditionierungsmittels zur Vorbereitung auf die Behandlung mit Libmeldy sowie nach der Behandlung, solange sich sein Immunsystem (das Abwehrsystem des Körpers) regeneriert, keine so genannten **Lebendimpfstoffe** erhalten.

Libmeldy enthält Natrium und Dimethylsulfoxid (DMSO)

Jede Dosis dieses Arzneimittels enthält 35–560 mg Natrium (Hauptbestandteil von Koch-/Tafelsalz). Dies entspricht 2 bis 28 % der empfohlenen maximalen über die Nahrung aufgenommenen Tagesdosis an Natrium für einen Erwachsenen.

Wenn Ihr Kind zuvor nicht mit DMSO (einer Substanz zur Konservierung gefrorener Zellen) in Kontakt gekommen ist, sollte das ärztliche oder medizinische Fachpersonal Ihr Kind während der Infusion und in den 3 Stunden nach der Infusion einmal pro Stunde genau auf Reaktionen beobachten.

3. Wie wird Libmeldy angewendet?

Libmeldy wird aus den Stammzellen Ihres Kindes hergestellt. Daher wird Blut Ihres Kindes etwa 2 Monate vor der Behandlung aus einer Vene entnommen, um das Arzneimittel herzustellen.

- Ihr Kind erhält zunächst ein Mobilisierungsmittel, um zu erreichen, dass die Blutstammzellen aus dem Knochenmark Ihres Kindes in den Blutkreislauf wandern.
- Die Blutstammzellen können dann mithilfe einer Maschine gewonnen werden, die Blutbestandteile trennt (*Apheresegerät*). Es kann länger als einen Tag dauern, bis genügend Blutstammzellen zusammenkommen, um Libmeldy herzustellen.

Die aus dem Blut gewonnenen Stammzellen werden auf folgende Proben aufgeteilt:

- Die **Behandlungsprobe –** diese wird versendet, um Libmeldy herzustellen, indem eine funktionierende Kopie des ARSA-Gens in die Stammzellen der Probe eingesetzt wird.
- Die **Reserveprobe** – diese wird eingefroren und gelagert und enthält die Reservestammzellen für Ihr Kind, die gegeben werden, wenn Libmeldy nicht verabreicht werden kann oder nicht funktioniert (siehe „*Wenn die Behandlung mit Libmeldy nicht bis zum Ende durchgeführt werden kann*“ in Abschnitt 2). Bitte beachten Sie, dass die Reservezellen alternativ aus dem Knochenmark Ihres Kindes entnommen werden können. In einem solchen Fall werden Ihrem Kind vor dem Eingriff Arzneimittel zur Entspannung und Ausschaltung des Schmerzempfindes oder Ausschaltung des Bewusstseins verabreicht. Der Arzt entnimmt Ihrem Kind Knochenmark mit einer speziellen Spritze.

Wie wird Libmeldy Ihrem Kind verabreicht?

- Libmeldy wird Ihrem Kind in einem qualifizierten Behandlungszentrum und von Ärzten verabreicht, die in der Anwendung dieser Art von Medikamenten geschult sind.
- Die Ärzte werden anhand der Beschriftung der Infusionsbeutel überprüfen, ob das Libmeldy darin tatsächlich aus der Probe Ihres Kindes stammt.
- Libmeldy ist eine einmalige Behandlung. Sie wird Ihrem Kind nicht noch einmal gegeben.

Zeitpunkt	Vorgang	Begründung
Etwa 2 Monate vor der Libmeldy-Infusion	Mobilisierungsmedikamente werden verabreicht	Um zu bewirken, dass die Blutstammzellen aus dem Knochenmark Ihres Kindes in den Blutkreislauf wandern.
Etwa 2 Monate vor der Libmeldy-Infusion	Entnahme von Blut	Zur Herstellung von Libmeldy, und um Reservezellen für den Bedarfsfall zu erhalten.

5 Tage vor der Infusion von Libmeldy	Im Krankenhaus wird 3–4 Tage lang ein Konditionierungsmedikament verabreicht	Zur Vorbereitung des Knochenmarks Ihres Kindes auf die Behandlung, indem Zellen im Knochenmark zerstört werden, damit die veränderten Zellen in Libmeldy ihren Platz einnehmen können.
15 bis 30 Minuten vor der Libmeldy-Infusion	Eventuell wird ein so genanntes Antihistaminikum gegeben	Zur Verhinderung einer allergischen Reaktion auf die Infusion.
Start der Libmeldy-Behandlung	Libmeldy wird durch einen Tropf (Infusion) in eine Vene gegeben. Dieser Vorgang wird in einem Krankenhaus stattfinden und je Infusionsbeutel etwa 30 Minuten dauern. Die Anzahl der Beutel ist je nach Patient verschieden.	Um das Knochenmark Ihres Kindes mit Stammzellen zu ergänzen, die das ARSA-Gen enthalten.
Nach der Libmeldy-Behandlung	Ihr Kind wird etwa 4 bis 12 Wochen im Krankenhaus bleiben	Zur Genesung und Überwachung, um überprüfen zu können, ob die Behandlung Ihres Kindes funktioniert, und um zu helfen, wenn Nebenwirkungen auftreten, bis der Arzt bzw. die Ärztin überzeugt ist, dass Ihr Kind ohne Risiko wieder nach Hause kann.

Wenn Sie weitere Fragen zur Anwendung dieses Arzneimittels haben, wenden Sie sich an Ihren Arzt bzw. Ihre Ärztin oder das medizinische Fachpersonal.

4. Welche Nebenwirkungen sind möglich?

Wie alle Arzneimittel kann auch dieses Arzneimittel Nebenwirkungen haben, die aber nicht bei jedem auftreten müssen.

Manche Nebenwirkungen hängen mit dem Konditionierungsmedikament zusammen, das gegeben wird, um das Knochenmark Ihres Kindes auf die Behandlung mit Libmeldy vorzubereiten.

Sprechen Sie mit dem Arzt bzw. der Ärztin Ihres Kindes über die Nebenwirkungen des Konditionierungsmedikaments. Sie können auch die Packungsbeilage des betreffenden Medikaments lesen.

Nebenwirkungen des Konditionierungsmedikaments

➔ **Informieren Sie unverzüglich den Arzt bzw. die Ärztin oder das medizinische Fachpersonal,** wenn bei Ihrem Kind nach Erhalt des Konditionierungsmedikaments eine der folgenden Nebenwirkungen auftritt. Dies ist meist in einem Zeitraum zwischen den ersten Tagen und mehreren Wochen nach Erhalt des Konditionierungsmedikaments der Fall, mitunter aber auch erst viel später.

Sehr häufige Nebenwirkungen (können mehr als 1 von 10 Personen betreffen)

- Niedrige Anzahl der weißen Blutkörperchen in Blutuntersuchungen mit oder ohne Fieber

- metabolische Azidose, ein Zustand, bei dem die Säurekonzentration im Blut erhöht ist
- Entzündung im Mund und an den Lippen
- Erbrechen
- Vergrößerung der Leber
- Schmerzen im rechten Oberbauch unter den Rippen, Gelbfärbung der Augen oder Haut, schnelle Gewichtszunahme, Schwellung von Armen, Beinen und Abdomen (Bauch) und Atmungsbeschwerden. Dies können Anzeichen für eine schwerwiegende Lebererkrankung mit der Bezeichnung *Venenverschlusskrankheit* sein
- Verlust der Funktion oder Verringerung der Funktion der Eierstöcke

Häufige Nebenwirkungen (können bis zu 1 von 10 Personen betreffen)

- abnormale Blutung oder Bluterguss – kann durch eine niedrige Anzahl an Blutplättchen und eine dadurch bedingte reduzierte Gerinnungsfähigkeit des Blutes verursacht werden
- Infektionen, die bei Ihrem Kind Fieber, Schüttelfrost oder Schwitzen hervorrufen können
- Infektion im Brustkorb (*Pneumonie*)
- Infektion der an der Urinausscheidung beteiligten Organe (zum Beispiel der Blase und Harnwege)
- niedrige Anzahl roter Blutkörperchen (*Anämie*)
- Wasseransammlung im Körper
- Wasseransammlung im Bauchraum
- Schlafstörungen
- Kopfschmerzen
- Nasenbluten
- Schmerzen in Mund und Rachen
- Durchfall
- Blutung im Verdauungstrakt
- Übelkeit
- erhöhte Leberenzyme (Transaminasen und Aminotransferasen) in Blutuntersuchungen
- juckende Haut
- Rückenschmerzen
- Knochenschmerzen
- verringerte Urinproduktion
- Fieber
- positiver Test auf Aspergillus (eine Pilzerkrankung der Lunge)

<u>Nebenwirkungen von Libmeldy</u>

Die folgenden Nebenwirkungen wurden im Zusammenhang mit Libmeldy berichtet:

Sehr häufige Nebenwirkungen (können mehr als 1 von 10 Personen betreffen)

- positiver Test auf Antikörper gegen ARSA. Antikörper sind eine natürliche Abwehrreaktion des Körpers auf alles, was vom Körper als fremd betrachtet wird.

Meldung von Nebenwirkungen
Wenn Sie bei Ihrem Kind Nebenwirkungen bemerken, wenden Sie sich an den Arzt bzw. die Ärztin Ihres Kindes oder an das medizinische Fachpersonal. Dies gilt auch für Nebenwirkungen, die nicht in dieser Packungsbeilage angegeben sind. Sie können Nebenwirkungen auch direkt über das in Anhang V aufgeführte nationale Meldesystem* anzeigen. Indem Sie Nebenwirkungen melden, können Sie dazu beitragen, dass mehr Informationen über die Sicherheit dieses Arzneimittels zur Verfügung gestellt werden.

5. Wie ist Libmeldy aufzubewahren?

Die folgenden Hinweise sind nur für Ärzte bestimmt.

Da dieses Arzneimittel in einem Krankenhaus verabreicht wird, ist das Krankenhaus für die korrekte Lagerung des Arzneimittels vor und während seiner Anwendung sowie für die ordnungsgemäße Entsorgung verantwortlich.

Bewahren Sie dieses Arzneimittel für Kinder unzugänglich auf.

Sie dürfen dieses Arzneimittel nach dem auf dem Etikett auf der Umverpackung und auf den Infusionsbeuteln nach „Verwendbar bis“ angegebenen Verfalldatum nicht mehr verwenden.

Verwenden Sie dieses Arzneimittel nicht, wenn Sie bemerken, dass der Infusionsbeutel beschädigt oder undicht ist.

Bei < -130 °C für bis zu 6 Monate lagern. Das Produkt erst unmittelbar vor der Verwendung auftauen. Das aufgetaute Produkt bei Raumtemperatur (20 °C–25 °C) aufbewahren und innerhalb von 2 Stunden verwenden. Nicht einfrieren.

Dieses Arzneimittel enthält genetisch veränderte menschliche Zellen. Nicht verwendetes Arzneimittel oder Abfallmaterial muss gemäß den vor Ort geltenden Richtlinien für den Umgang mit menschlichem Material entsorgt werden.

6. Inhalt der Packung und weitere Informationen

Was Libmeldy enthält

- Der Wirkstoff in Libmeldy besteht aus den Stammzellen Ihres Kindes, die funktionierende Kopien des ARSA-Gens enthalten. Die Konzentration je Beutel beträgt 2–10 × 10^6 Zellen pro Milliliter.

- Die sonstigen Bestandteile sind eine Lösung zur Konservierung eingefrorener Zellen und Natriumchlorid (siehe Abschnitt 2, *Libmeldy enthält Natriumchlorid*).

Dieses Arzneimittel enthält genetisch veränderte menschliche Blutzellen.

Wie Libmeldy aussieht und Inhalt der Packung

Libmeldy ist eine klare bis leicht trübe, farblose bis gelbe oder rosafarbene Dispersion von Zellen, die in einem oder mehreren transparenten Infusionsbeuteln geliefert wird, welche sich jeweils in einem Beutel in einem geschlossenen Metallbehälter befinden.

Auf jedem Infusionsbeutel und jedem Metallbehälter sind der Name und das Geburtsdatum Ihres Kindes sowie verschlüsselte Angaben, die Ihr Kind als Patienten identifizieren, aufgedruckt.

Pharmazeutischer Unternehmer

Orchard Therapeutics (Netherlands) B.V.
Basisweg 10,
1043 AP Amsterdam,
Niederlande

Hersteller

AGC Biologics S.p.A.
Zambon Scientific Park
Via Meucci 3
200091 Bresso (MI)

Italien

AGC Biologics S.p.A.
Via Olgettina 58
20132
Mailand
Italien

Diese Packungsbeilage wurde zuletzt überarbeitet im

Weitere Informationsquellen

Ausführliche Informationen zu diesem Arzneimittel sind auf den Internetseiten der Europäischen Arzneimittel-Agentur verfügbar: http://www.ema.europa.eu.

Diese Packungsbeilage ist auf den Internetseiten der Europäischen Arzneimittel-Agentur in allen EU-Amtssprachen verfügbar.

<----------->

Die folgenden Informationen sind für medizinisches Fachpersonal bestimmt:

Es ist wichtig, dass Sie diese Vorgehensweise vollständig durchlesen, bevor Sie Libmeldy verabreichen.

Vorsichtsmaßnahmen vor/bei der Handhabung bzw. vor/während der Anwendung des Arzneimittels

- Dieses Arzneimittel enthält menschliche Blutzellen. Angehörige von Gesundheitsberufen müssen daher bei der Handhabung von Libmeldy angemessene Vorsichtsmaßnahmen treffen (Handschuhe, Schutzkleidung und Schutzbrille tragen), um eine mögliche Übertragung von Infektionskrankheiten zu vermeiden.
- Libmeldy muss durchgehend bei < -130 °C aufbewahrt werden, bis der Inhalt des Beutels für die Infusion aufgetaut wird.

Definition der anzuwendenden Dosis

- Die zu infundierende Dosis und die Anzahl der zu verwendenden Infusionsbeutel mit Libmeldy (d. h. die „zugeführte Dosis“, berechnet auf Basis des Körpergewichts des Patienten zum Zeitpunkt der Zellentnahme) ist auf der Grundlage der Gesamtzahl der bereitgestellten $CD34^+$ Zellen, die auf dem Chargeninformationsblatt angegeben ist, festzulegen. Im Zusammenhang mit der zu verabreichenden Libmeldy-Dosis sollten auch das Gewicht des Patienten zum Behandlungszeitpunkt und die Tatsache berücksichtigt werden, dass jeder verwendete Beutel vollständig infundiert werden sollte.
- Es ist sorgfältig darauf zu achten, das Infusionsvolumen auf das Alter und das Körpergewicht des Patienten abzustimmen. Wenn für die zu infundierende Dosis mehr als ein Beutel Libmeldy benötigt wird, sollte vor der Infusion sichergestellt werden, dass das zu infundierende Arzneimittelvolumen mit dem empfohlenen Grenzwert für DMSO vereinbar ist, d. h. das Gesamtvolumen des verabreichten DMSO sollte bei < 1 % des geschätzten Plasmavolumens des Patienten bleiben. Daher sollte das maximal zu verabreichende Libmeldy-Volumen < 20 % des geschätzten Plasmavolumens des Patienten betragen.
- Das folgende Diagramm dient als Referenz, um das maximale Volumen von Libmeldy zu bestimmen, das einem Patienten auf der Grundlage seines geschätzten Plasmavolumens infundiert werden kann.