

**Gebrauchsinformation: Information für Patienten oder Betreuer**  
**Zynteglo 1,2–20 × 10<sup>6</sup> Zellen/ml Infusionsdispersion**  
Betibeglogen Autotemcel

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

**Lesen Sie die gesamte Packungsbeilage sorgfältig durch, bevor Sie mit der Anwendung dieses Arzneimittels beginnen, denn sie enthält wichtige Informationen.**

Sie erhalten einen **Patientenausweis**, der wichtige Sicherheitsinformationen enthält, die Sie über Ihre Behandlung mit Zynteglo wissen müssen. Sie sollten den Patientenausweis immer bei sich tragen und Ihrem Arzt oder dem medizinischen Fachpersonal zeigen, wenn Sie einen Arzttermin haben oder in ein Krankenhaus gehen.

- Heben Sie die Packungsbeilage auf. Vielleicht möchten Sie diese später nochmals lesen.
- Wenn Sie weitere Fragen haben, wenden Sie sich an Ihren Arzt oder das medizinische Fachpersonal.
- Wenn Sie Nebenwirkungen bemerken, wenden Sie sich an Ihren Arzt oder das medizinische Fachpersonal. Dies gilt auch für Nebenwirkungen, die nicht in dieser Packungsbeilage angegeben sind. Siehe Abschnitt 4.
- Lesen Sie den Patientenausweis sorgfältig durch und befolgen Sie die darin enthaltenen Anweisungen.

**Was in dieser Packungsbeilage steht**

1. Was ist Zynteglo und wofür wird es angewendet?
2. Was sollten Sie vor der Anwendung von Zynteglo beachten?
3. Wie wird Zynteglo verabreicht
4. Welche Nebenwirkungen sind möglich?
5. Wie ist Zynteglo aufzubewahren?
6. Inhalt der Packung und weitere Informationen

**1. Was ist Zynteglo und wofür wird es angewendet?**

Zynteglo wird zur Behandlung einer schweren genetischen Erkrankung, der transfusionsabhängigen  $\beta$ -Thalassämie (TDT), die die meist als  $\beta$ -Thalassämie major bezeichnete Erkrankung beinhaltet, bei Menschen im Alter ab 12 Jahren angewendet. Menschen mit dieser Erkrankung können nicht genug Hämoglobin produzieren. Hämoglobin ist ein Protein im Blut, das Sauerstoff transportiert. Genauer gesagt, produzieren Menschen mit TDT aufgrund eines genetischen Defekts den  $\beta$ -Globin genannten Teil des Hämoglobins nicht ausreichend. Aufgrund dieses Defekts haben Menschen mit TDT eine Anämie und benötigen häufige Bluttransfusionen, um zu überleben.

Zynteglo ist ein Arzneimittel zur Gentherapie. Es wird individuell für jeden Patienten hergestellt, wobei die eigenen Blutstammzellen des Patienten (auch als autologe Stammzellen bezeichnet) verwendet werden. Zynteglo wirkt, indem es funktionsfähige Kopien des  $\beta$ -Globin-Gens in diese Zellen einbringt, sodass der Patient genug  $\beta$ -Globin produzieren kann, um das Gesamthämoglobin zu erhöhen, die Anämie zu verbessern und mehr Sauerstoff durch den Körper zu transportieren. Dadurch wird die Notwendigkeit von Bluttransfusionen verringert oder aufgehoben.

**2. Was sollten Sie vor der Anwendung von Zynteglo beachten?**

**Zynteglo darf nicht angewendet werden,**

- wenn Sie allergisch gegen einen der in Abschnitt 6 genannten Bestandteile dieses Arzneimittels sind
- wenn Sie schwanger sind oder stillen

- wenn Sie zuvor eine Genterapie mit Ihren Blutstammzellen erhalten haben
- wenn Sie allergisch gegen einen der Bestandteile der Arzneimittel sind, die Sie für die Mobilisierung und Chemotherapie erhalten (siehe Abschnitt 3).

### **Warnhinweise und Vorsichtsmaßnahmen**

Bitte sprechen Sie mit Ihrem Arzt, bevor Ihnen Zynteglo verabreicht wird.

Vor der Behandlung mit Zynteglo erhalten Sie Arzneimittel, die als Mobilisierungs-Arzneimittel und Chemotherapie-Medikamente bezeichnet werden (siehe Abschnitt 3 und 4 bzgl. weiterer Informationen zu diesen Arzneimitteln einschließlich möglicher Nebenwirkungen).

Vor der Behandlung mit Zynteglo wird Ihr Arzt Tests durchführen, um sicherzustellen, dass Ihr Herz und Ihre Leber ordnungsgemäß funktionieren, damit Sie sicher mit Zynteglo behandelt werden können.

Zynteglo wird speziell für Sie unter Verwendung Ihrer eigenen Blutstammzellen hergestellt.

Nachdem Sie mit Zynteglo behandelt wurden, können Sie zukünftig kein Blut, keine Organe oder Gewebe mehr spenden. Der Grund dafür ist, dass es sich bei Zynteglo um ein Arzneimittel zur Genterapie handelt.

Das Hinzufügen eines neuen Gens in die DNA Ihrer Blutstammzellen könnte theoretisch eine Myelodysplasie, eine Leukämie oder ein Lymphom hervorrufen, obwohl sich bei keinem TDT-Patienten in klinischen Studien mit Zynteglo eine Myelodysplasie, eine Leukämie oder ein Lymphom entwickelt hat. Nach der Behandlung mit Zynteglo werden Sie gebeten, sich für mindestens 15 Jahre in ein Register aufnehmen zu lassen, um die langfristige Sicherheit und Wirksamkeit von Zynteglo besser zu verstehen. Während der langfristigen Nachbeobachtung wird Ihr Arzt Sie mindestens einmal im Jahr auf Anzeichen einer Myelodysplasie, einer Leukämie oder eines Lymphoms überwachen.

Für die Herstellung von Zynteglo werden Teile des humanen Immundefizienzvirus (HIV) verwendet, welche verändert wurden, damit sie keine HIV-Infektion verursachen können. Das modifizierte Virus dient dazu, ein funktionsfähiges  $\beta$ -Globin-Gen in Ihre Blutstammzellen einzubringen. Obwohl Sie durch dieses Arzneimittel keine HIV-Infektion bekommen können, kann Zynteglo in Ihrem Blut bei einigen im Handel befindlichen Tests zu falsch-positiven HIV-Test-Ergebnissen führen, da hierbei ein Teil von HIV erkannt wird, der für die Herstellung von Zynteglo verwendet wird. Wenn Sie nach der Behandlung positiv auf HIV getestet werden, kontaktieren Sie bitte Ihren Arzt oder das medizinische Fachpersonal.

Bevor Ihnen Zynteglo verabreicht wird, erhalten Sie eine Chemotherapie, um Ihr vorhandenes Knochenmark zu entfernen. Wenn Zynteglo nach einer Chemotherapie nicht verabreicht werden kann oder wenn die modifizierten Stammzellen in Ihrem Körper nicht anwachsen (Engraftment), kann der Arzt Ihnen eine Infusion mit Ihren eigenen ursprünglichen Blutstammzellen verabreichen, die vor Behandlungsbeginn entnommen und aufbewahrt wurden (siehe auch Abschnitt 3: Wie wird Zynteglo verabreicht).

Nachdem Sie Zynteglo erhalten haben, kann die Anzahl der Blutplättchen in Ihrem Blut gering sein. Das bedeutet, dass Ihr Blut möglicherweise weniger gut gerinnt und Sie zu Blutungen neigen können. Sie müssen einen Arzt aufsuchen, wenn Sie:

- sich den Kopf stoßen oder eine Kopfverletzung haben
- Symptome aufweisen, die von inneren Blutungen herrühren könnten, wie z. B. ungewöhnliche Magen- oder Rückenschmerzen oder starke Kopfschmerzen
- ungewöhnliche Blutergüsse oder Blutungen (z. B. Bluterguss ohne Verletzung, Blut im Urin, Stuhl oder Erbrochenem oder Abhusten von Blut) haben.

Ihr Arzt wird Ihnen sagen, wenn die Zahl Ihrer Blutplättchen wieder normal ist.

### **Anwendung von Zynteglo zusammen mit anderen Arzneimitteln**

Informieren Sie Ihren Arzt, wenn Sie andere Arzneimittel anwenden, kürzlich andere Arzneimittel angewendet haben oder beabsichtigen, andere Arzneimittel anzuwenden.

Sie sollten für mindestens einen Monat vor der Mobilisierung der Blutstammzellen und für mindestens 7 Tage nach der Zynteglo-Infusion keinen Hydroxyharnstoff (ein Arzneimittel für Bluterkrankungen) und keine Arzneimittel für eine HIV-Infektion einnehmen (siehe auch Abschnitt 3: Wie wird Zynteglo verabreicht?).

Sie sollten Arzneimittel zur Entfernung von Eisen aus Ihrem Körper (sogenannte Chelatbildner: Deferoxamin, Deferipron und/oder Deferasirox) 7 Tage vor Beginn der Chemotherapie vor der Zynteglo-Infusion absetzen (siehe Abschnitt 3 Wie wird Zynteglo verabreicht?). Ihr Arzt wird Ihnen sagen, ob und wann Sie mit der Einnahme dieser Arzneimittel nach der Zynteglo-Infusion beginnen sollen.

Sprechen Sie mit Ihrem Arzt, wenn bei Ihnen irgendwelche Impfungen notwendig sind.

### **Schwangerschaft, Stillzeit und Fortpflanzungsfähigkeit**

Wenn Sie schwanger sind oder stillen oder wenn Sie vermuten, schwanger zu sein, oder beabsichtigen, schwanger zu werden, fragen Sie vor der Anwendung des Arzneimittels Ihren Arzt um Rat.

Wenn Sie eine Frau sind, wird vor Beginn der Mobilisierung, vor der Verabreichung einer Chemotherapie und vor der Behandlung mit Zynteglo ein Schwangerschaftstest durchgeführt, um zu bestätigen, dass Sie nicht schwanger sind.

Frauen, die schwanger werden können, und Männer, die ein Kind zeugen können, müssen mit der Anwendung einer zuverlässigen Methode der Empfängnisverhütung vor der Entnahme ihrer Blutstammzellen beginnen und eine solche bis mindestens 6 Monate nach Erhalt von Zynteglo beibehalten. Zuverlässige Methoden der Empfängnisverhütung beinhalten ein Intrauterinpeppar oder eine Kombination von oralen Verhütungsmitteln (auch bekannt als die Pille) und Kondomen.

Das durch Zynteglo eingebrachte Gen wird nicht an Ihre Kinder vererbt. Bei Ihren Kindern besteht weiterhin das Risiko, Ihr ursprüngliches  $\beta$ -Globin-Gen zu erben.

Zynteglo darf nicht angewendet werden, wenn Sie stillen. Es ist nicht bekannt, ob die Bestandteile von Zynteglo in die Muttermilch übergehen können.

Möglicherweise können Sie nach dem Erhalt von Chemotherapie-Medikamenten nicht mehr schwanger werden oder ein Kind zeugen. Sie sollten vor der Behandlung mit Ihrem Arzt über einen möglichen Kinderwunsch sprechen. Mögliche Optionen können die Abgabe von Fortpflanzungsmaterial und Lagerung in einer Gewebekbank für die spätere Verwendung beinhalten. Für Männer kann es sich dabei um Spermia oder Hodengewebe handeln. Bei Frauen kann dies Eizellen (Oozyten) oder Eierstockgewebe beinhalten.

### **Verkehrstüchtigkeit und Fähigkeit zum Bedienen von Maschinen**

Zynteglo wirkt sich nicht auf die Verkehrstüchtigkeit und die Fähigkeit zum Bedienen von Maschinen aus. Allerdings können die Mobilisation und die Chemotherapeutika Schwindel und Erschöpfung (Fatigue) verursachen. Vermeiden Sie das Führen von Fahrzeugen oder das Bedienen von Maschinen, wenn Sie sich schwindelig, müde oder unwohl fühlen.

### **Natriumgehalt**

Dieses Arzneimittel enthält 391–1564 mg Natrium (Hauptbestandteil von Kochsalz/Tafelsalz) pro Dosis. Dies entspricht 20–78 % der empfohlenen maximalen täglichen Natriumaufnahme mit der Nahrung für einen Erwachsenen.

### 3. Wie wird Zynteglo verabreicht?

Zynteglo wird über einen Tropf (Infusion) in eine Vene verabreicht. Es kann nur in einem spezialisierten Krankenhaus von Ärzten verabreicht werden, die Erfahrung mit der Behandlung von TDT-Patienten, der Durchführung von Knochenmarktransplantationen und der Anwendung von Arzneimitteln zur Gentherapie haben.

Zynteglo kann nur hergestellt werden, wenn genug Blutstammzellen des richtigen Typs aus Ihrem Blut entnommen werden können (CD34<sup>+</sup>-Blutstammzellen). Ungefähr 2 Monate vor der Behandlung mit Zynteglo erhalten Sie ein Mobilisierungsmedikament, das Ihre Blutstammzellen von Ihrem Knochenmark in Ihren Blutkreislauf ausschwemmt. Die Blutstammzellen können dann mit einer Maschine, die die Blutbestandteile voneinander trennt (Apheresemaschine), entnommen werden. Möglicherweise ist mehr als 1 Tag notwendig, damit genug Blutstammzellen für die Herstellung von Zynteglo und die Aufbewahrung von Ersatzzellen gewonnen werden können, falls Zynteglo nicht verabreicht werden kann oder nicht wirkt.

<b>Zeitpunkt</b>	<b>Was passiert</b>	<b>Warum</b>
Ungefähr 2 Monate vor der Zynteglo-Infusion	Es wird ein Medikament für die Mobilisierung verabreicht.	Um die Blutstammzellen von Ihrem Knochenmark in Ihren Blutkreislauf auszuschwemmen.
Ungefähr 2 Monate vor der Zynteglo-Infusion	Blutstammzellen werden entnommen.	Um Zynteglo herzustellen und um als Ersatzzellen zu dienen, falls diese benötigt werden.
Mindestens 6 Tage vor der Zynteglo-Infusion	Sie erhalten 4 Tage lang ein Chemotherapie-Medikament in einem Krankenhaus.	Um Ihr Knochenmark auf die Behandlung mit Zynteglo vorzubereiten.
Beginn der Zynteglo-Behandlung	Zynteglo wird über einen Tropf (Infusion) in eine Vene verabreicht. Dies wird in einem Krankenhaus durchgeführt und dauert weniger als 30 Minuten pro Infusionsbeutel. Die Anzahl der Infusionsbeutel ist von Patient zu Patient unterschiedlich.	Um Ihrem Knochenmark Blutstammzellen mit funktionsfähigen Kopien des $\beta$ -Globin-Gens hinzuzufügen.
Nach der Zynteglo Infusion	Sie bleiben ungefähr 3–6 Wochen im Krankenhaus,	Um zu genesen und überwacht zu werden, bis Ihr Arzt der Meinung ist, dass es für Sie sicher ist, das Krankenhaus zu verlassen.

### 4. Welche Nebenwirkungen sind möglich?

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

Manche Nebenwirkungen, die in klinischen Studien mit Zynteglo beobachtet wurden, stehen in Zusammenhang mit der Mobilisierung und der Entnahme von Blutstammzellen oder den Chemotherapie-Medikamenten, die zur Vorbereitung Ihres Knochenmarks für die Behandlung mit Zynteglo verwendet werden.

Besprechen Sie mögliche Nebenwirkungen durch Arzneimittel für die Mobilisierung und die Chemotherapie-Medikamente mit Ihrem Arzt. Sie sollten auch die Packungsbeilagen für diese Arzneimittel lesen.

### **Mobilisierung und Stammzellgewinnung**

Die meisten dieser Nebenwirkungen treten während oder innerhalb von wenigen Tagen nach der Mobilisierung und der Entnahme der Blutstammzellen auf, sie können aber auch später auftreten. Informieren Sie umgehend Ihren Arzt, wenn Nebenwirkungen schwer oder schwerwiegend werden.

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

- Geringe Konzentration von Blutplättchen, was die Gerinnungsfähigkeit des Blutes verringern kann
- Knochenschmerzen
- Taubheitsgefühl und Schmerzen in den Händen und Füßen
- Übelkeit
- Kopfschmerzen
- Niedriger Kalziumspiegel im Blut

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

- Blutungen
- Niedriger Sauerstoffgehalt im Blut
- Niedriger Blutdruck
- Bauchschmerzen
- Rückenschmerzen
- Knochen- oder Muskelschmerzen
- Beschwerden oder Schmerzen im Brustkorb
- Andere Schmerzen
- Agitiertheit (Erregung und Unruhe)
- Anormale Bluttestergebnisse (verringertes Magnesium- und Kaliumspiegel, zu viel Ziträt oder erhöhte Anzahl weißer Blutkörperchen)
- Anormaler Herzrhythmus
- Blutergüsse, Blutungen oder Schmerzen aus dem Katheter oder der Injektionsstelle
- Reaktion an der Injektionsstelle
- Blutergüsse
- Schwindelgefühl, Müdigkeit
- Beschwerden im Kopfbereich
- Übermäßiges Schwitzen
- Grippeähnliche Erkrankung
- Geschwollene Lippen
- Kribbeln oder Taubheit in den Händen, Füßen oder dem Mund
- Fieber
- Ausschlag
- Vergrößerte Milz, was zu Schmerzen im linken Oberbauch oder der linken Schulter führen kann
- Erbrechen

### **Medikamente zur Chemotherapie**

**Informieren Sie umgehend Ihren Arzt**, wenn bei Ihnen irgendwelche der folgenden Nebenwirkungen nach der Verabreichung von Medikamenten zur Chemotherapie auftreten. Diese treten gewöhnlich innerhalb der ersten Tage und Wochen nach der Verabreichung von Chemotherapie-Medikamenten auf, sie können aber auch sehr viel später auftreten.

#### **Sehr häufig** (können mehr als 1 von 10 Personen betreffen)

- Schmerzen im rechten Oberbauch unterhalb der Rippen, Gelbfärbung der Augen oder Haut, schnelle Gewichtszunahme, Schwellung von Armen, Beinen und Bauch sowie Atembeschwerden. Hierbei kann es sich um Anzeichen einer sogenannten Lebervenen-Verschlusskrankheit, einer schwerwiegenden Lebererkrankung, handeln.
- Verlängerte Blutungen oder Blutungen ohne Verletzung, wie z. B. Nasenbluten, Zahnfleischbluten oder vaginale Blutungen.

## Weitere mögliche Nebenwirkungen

Informieren Sie umgehend Ihren Arzt, wenn Nebenwirkungen schwer oder schwerwiegend werden.

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

- Geringe Konzentration roter und weißer Blutkörperchen, manchmal mit Fieber
- Erhöhung bestimmter Enzyme im Blut, was auf ein Problem mit Ihrer Leber hinweisen kann
- Geringe Konzentration von Blutplättchen, was die Gerinnungsfähigkeit des Blutes verringern kann
- Ungewöhnlicher Haarausfall oder dünner werdendes Haar
- Magenschmerzen, Verstopfung, Durchfall
- Übelkeit, Erbrechen
- Fieber
- Schmerzen im Mund
- Entzündung des Rachens
- Dunkle Stellen auf der Haut
- Schmerzen im Analbereich
- Schlafstörungen
- Verminderter Appetit
- Kopfschmerzen
- Müdigkeit
- Juckende Haut
- Wundsein und Schwellungen der Schleimhaut des Verdauungstrakts, der vom Mund bis zum After reicht

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

- Eine lebensbedrohliche entzündliche Reaktion auf eine Infektion zusammen mit einer geringen Anzahl von weißen Blutkörperchen
- Herzversagen
- Infektionen, die zu Wärmegefühl, Schüttelfrost oder Schwitzen führen können
- Raumforderung in den Lungen
- Vergrößerter Bauch/Blähbauch
- Vergrößerte Leber
- Schwierigkeiten beim Atmen
- Bauchschmerzen
- Blutungen oder Blutergüsse
- Blut im Urin
- Gelbfärbung der Augen oder der Haut
- Kleiner Riss im Gewebe, das den After auskleidet
- Schwindelgefühl oder Gefühl des Gleichgewichtsverlusts oder als ob sich das Zimmer drehen würde
- Gedächtnisprobleme
- Angst
- Positives Testergebnis für Aspergillus (durch Pilz verursachte Lungenerkrankung)
- Veränderungen und Abweichungen des Herzrhythmus
- Schmerzen, einschließlich im Rücken, in den Knochen, der Haut, den Gliedmaßen, dem After oder den Muskeln
- Hefeinfektion der Scheide
- Sodbrennen
- Entzündung der Gallenblase
- Gallensteine
- Husten
- Veränderter Geschmackssinn oder Verlust des Geschmacksinns
- Schluckstörung

- Anschwellen des Gesichts
- Kältegefühl
- Überschüssiges Wasser im Körper
- Entzündung oder Infektion der Haarfollikel
- Abnahme der Luftgeschwindigkeit beim Verlassen der Lunge
- Magenbeschwerden mit Übelkeit und Erbrechen
- Entzündung im Verdauungstrakt
- Zahnfleischerkrankung
- Hämorrhoiden
- Schluckauf
- Niedriger Blutdruck
- Niedrige Körpertemperatur
- Niedriger Sauerstoffgehalt im Blut
- Schmerzen im Mund, Hals oder Kehlkopf
- Energiemangel
- Unregelmäßige Menstruation
- Funktionsverlust oder verringerte Funktion der Eierstöcke oder Hoden
- Vorzeitige Menopause
- Punkte auf der Haut von Blutungen unter der Haut
- Haut, die verfärbt, fleckig, oder dunkler oder heller als normal ist.
- Flüssigkeit in der Lunge oder um die Lunge
- Hitzewallung
- Häufigeres Wasserlassen
- Trockene, juckende Haut
- Trockene Lippen
- Ausschlag, gelegentlich mit Läsionen oder eitrig
- Entzündete Hautläsionen
- Hautabschürfung/Kratzer
- Störung der Schweißdrüsen
- Transfusionsreaktion
- Gewichtsabnahme
- Abnorme Leberwerte
- Erhöhte Hämoglobinkonzentration in den Zellen
- Veränderungen von Magnesium, Kalzium, Kalium, Phosphat, Albumin, Protein und Natrium im Blut
- Zunahme der Entzündungswerte im Blut
- Übersäuerung des Körpers, die nicht von den Nieren aus dem Körper entfernt wird
- Zunahme oder Abnahme der weißen Blutkörperchen
- Geringe Anzahl unreifer (nicht vollständig entwickelter) roter Blutkörperchen
- Zunahme weiblicher Hormone
- Erniedrigter Testosteronspiegel

### **Zynteglo**

Die meisten Nebenwirkungen treten während oder innerhalb von wenigen Tagen nach der Behandlung mit Zynteglo auf, sie können aber auch später auftreten. Informieren Sie umgehend Ihren Arzt, wenn Nebenwirkungen schwer oder schwerwiegend werden.

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

- Magenschmerzen

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

- Niedriger Spiegel von Blutplättchen, was die Gerinnungsfähigkeit des Blutes verringern kann
- Niedriger Spiegel von weißen Blutkörperchen
- Kurzatmigkeit

- Brustschmerzen ohne zugrundeliegende Herzerkrankung
- Hitzewallungen (Rötung und Wärmegefühl der Haut)
- Schmerzen in den Beinen

### **Meldung von Nebenwirkungen**

Wenn Sie Nebenwirkungen bemerken, wenden Sie sich an Ihren Arzt oder 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 Zynteglo aufzubewahren?**

Diese Informationen sind nur für Ärzte bestimmt.

Da dieses Medikament von einem qualifizierten Arzt verabreicht wird, ist dieser für die ordnungsgemäße Aufbewahrung des Arzneimittels vor und während der Anwendung sowie für die bestimmungsgemäße Entsorgung verantwortlich.

Bewahren Sie dieses Arzneimittel für Kinder unzugänglich auf.

Sie dürfen dieses Arzneimittel nach dem/n auf dem/n Etikett(en) des/r äußeren Behälter(s) und dem/n Infusionsbeutel(n) angegebenen Verfalldatum nicht mehr verwenden.

Arzneimittel bis zu einem Jahr bei  $\leq -140\text{ °C}$  lagern. Das Arzneimittel bis unmittelbar vor der Anwendung nicht auftauen. Nach dem Auftauen bei Raumtemperatur ( $20\text{ °C}$ – $25\text{ °C}$ ) aufbewahren und innerhalb von 4 Stunden verwenden.

Dieses Arzneimittel enthält genetisch veränderte Zellen. Nicht verwendetes Arzneimittel muss in Übereinstimmung mit lokalen Richtlinien zur Handhabung von Material humanen Ursprungs entsorgt werden.

## **6. Inhalt der Packung und weitere Informationen**

### **Was Zynteglo enthält**

- Der Wirkstoff von Zynteglo besteht aus Ihren eigenen Blutstammzellen, die funktionsfähige Kopien des  $\beta$ -Globin-Gens enthalten, was in Ihrem Blut bestimmt werden kann. Die Konzentration beträgt  $1,2\text{--}20 \times 10^6$  CD34+-Zellen (Blutstammzellen) pro Milliliter.
- Die sonstigen Bestandteile sind eine Lösung, die für die Konservierung gefrorener Zellen verwendet wird, und Natriumchlorid. Siehe Abschnitt 2, Natriumgehalt.

### **Wie Zynteglo aussieht und Inhalt der Packung**

Zynteglo ist eine klare bis leicht trübe, farblose bis gelbe oder rosafarbene Zelldispersion, die in einem oder mehreren klaren Infusionsbeuteln geliefert wird, von denen jeder in einem durchsichtigen Beutel in einem geschlossenen Metallbehälter verpackt ist.

Ihr Name und Ihr Geburtsdatum sowie kodierte Informationen, die Sie als den Patienten identifizieren, sind auf jeden Infusionsbeutel und jeden Metallbehälter aufgedruckt.



**Pharmazeutischer Unternehmer und Hersteller**

bluebird bio (Netherlands) B.V.

Stadsplateau 7

WTC Utrecht

3521AZ Utrecht

Niederlande

[medinfo@bluebirdbio.com](mailto:medinfo@bluebirdbio.com)

**Hersteller**

Minaris Regenerative Medicine GmbH

Haidgraben 5

85521 Ottobrunn

Deutschland

Falls Sie weitere Informationen über das Arzneimittel wünschen, setzen Sie sich bitte mit dem örtlichen Vertreter des pharmazeutischen Unternehmers in Verbindung.

**Deutschland**

bluebird bio (Germany) GmbH

Tel: +49 (0) 893 803 7456 (0800 181 0702)

**Italia**

bluebird bio (Italy) S.r.l.

Tel: +39 029 475 9755 (800 728 026)

**Ελλάδα/ Κύπρος**

bluebird bio Greece Single Member L.L.C.

Τηλ: +30 21 0300 5938

**Nederland**

bluebird bio (Netherlands) B.V.

Tel: +31 (0) 303 100 450

**France**

bluebird bio (France) SAS

Tél: +33 (0) 1 85 14 97 89 (0800 914 510)

**United Kingdom**

bluebird bio (UK) Limited

Tel: +44 (0) 207 660 0754  
(0800-069-8046)

**België/Belgique/Belgien, България, Česká republika, Danmark, Eesti, España, Hrvatska, Irland, Island, Latvija, Lietuva, Luxembourg/Luxemburg, Magyarország, Malta, Norwegen, Österreich, Polen, Portugal, România, Slovenija, Slovenská republika, Suomi/Finland, Sverige**

bluebird bio (Netherlands) B.V.

Tél/Tel/Тел/Tlf/Simi/Puh:

+31 (0) 303 100 450

[medinfo@bluebirdbio.com](mailto:medinfo@bluebirdbio.com)

**Diese Packungsbeilage wurde zuletzt überarbeitet im <{MM.JJJJ}>**

Dieses Arzneimittel wurde unter „Besonderen Bedingungen“ zugelassen. Das bedeutet, dass weitere Nachweise für den Nutzen des Arzneimittels erwartet werden.

Die Europäische Arzneimittel-Agentur wird neue Informationen zu diesem Arzneimittel mindestens jährlich bewerten und die Packungsbeilage wird, falls erforderlich, aktualisiert werden.

Ausführliche Informationen zu diesem Arzneimittel sind auf den Internetseiten der Europäischen Arzneimittel-Agentur <http://www.ema.europa.eu/> <und auf den Internetseiten <Name der nationalen Behörde (Link)> verfügbar.

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