

Gebrauchsinformation: Information für Patienten oder Betreuer

Skysona 2–30 x 10⁶ Zellen/ml Infusionsdispersion

Elivaldogen autotemcel (autologe CD34⁺-Zellen, die für das *ABCD1*-Gen kodieren)

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

Lesen Sie die gesamte Packungsbeilage sorgfältig durch, bevor Sie/Ihr Kind mit der Anwendung dieses Arzneimittels beginnen/beginnt, 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 an den Arzt oder das medizinische Fachpersonal.
- Wenn Sie Nebenwirkungen bemerken, wenden Sie sich an den Arzt oder das medizinische Fachpersonal. Dies gilt auch für Nebenwirkungen, die nicht in dieser Packungsbeilage angegeben sind. Siehe Abschnitt 4.
- Der Arzt oder das medizinische Fachpersonal wird Ihnen einen Patientenausweis aushändigen, der wichtige Sicherheitsinformationen über die Behandlung mit Skysona enthält. Lesen Sie sie sorgfältig durch und befolgen Sie die darin enthaltenen Anweisungen.
- Tragen Sie den Patientenausweis immer bei sich und zeigen Sie ihn bei Ärzten oder medizinischem Fachpersonal, bei denen Sie vorstellig werden, oder wenn Sie ins Krankenhaus gehen, stets vor.

Was in dieser Packungsbeilage steht

1. Was ist Skysona und wofür wird es angewendet?
2. Was sollten Sie beachten, bevor Sie oder Ihr Kind Skysona anwenden/anwendet?
3. Wie wird Skysona hergestellt und verabreicht?
4. Welche Nebenwirkungen sind möglich?
5. Wie ist Skysona aufzubewahren?
6. Inhalt der Packung und weitere Informationen

1. Was ist Skysona und wofür wird es angewendet?

Skysona wird zur Behandlung einer schwerwiegenden genetischen Erkrankung namens zerebrale Adrenoleukodystrophie (CALD) bei Kindern und Jugendlichen unter 18 Jahren angewendet.

Menschen mit CALD haben eine Veränderung in einem Gen, welches zur Produktion eines Eiweißes (Proteins) namens Adrenoleukodystrophie-Protein (ALDP) verantwortlich ist. Menschen mit CALD können dieses Protein entweder nicht herstellen oder haben ein Protein, das nicht gut funktioniert. Dies führt zur Ansammlung von überlangkettigen Fettsäuren im Körper, insbesondere im Gehirn. Diese Fettsäuren verursachen schwere Schäden an Gehirnzellen. Unbehandelt führt diese Schädigung zu Problemen beim Sehen, Hören, Sprechen, Gehen und/oder Denken und wahrscheinlich zum Tod.

Skysona zählt zu den Arzneimitteln der sogenannten Gentherapie. Es wird individuell für jeden Patienten hergestellt, wobei die eigenen Blutstammzellen des Patienten verwendet werden.

Zellen, die Stammzellen genannt werden, werden aus dem Blut des Patienten entnommen. Sie werden dann in einem Labor modifiziert, um ein funktionierendes Gen zur Herstellung von ALDP einzufügen. Wenn Ihnen/Ihrem Kind Skysona verabreicht wird, das aus diesen modifizierten Zellen

besteht, beginnen die Zellen mit der Herstellung von ALDP, das dann die überlangkettigen Fettsäuren abbaut. Es wird erwartet, dass dies das Fortschreiten der Krankheit verlangsamt.

Skysona wird über einen Tropf (Infusion) in eine Vene (intravenös) verabreicht. Weitere Informationen darüber, was vor und während der Behandlung geschieht, finden Sie in Abschnitt 3, „Wie wird Skysona hergestellt und verabreicht“.

2. Was sollten Sie beachten, bevor Sie oder Ihr Kind Skysona anwenden/anwendet?

Skysona darf bei Ihnen/Ihrem Kind nicht angewendet werden, wenn Sie oder Ihr Kind:

- allergisch gegen einen der in Abschnitt 6 genannten sonstigen Bestandteile dieses Arzneimittels sind/ist.
- allergisch gegen einen der Bestandteile der Arzneimittel sind/ist, die Ihr Kind vor der Behandlung mit Skysona erhält (siehe Abschnitt 3).

Warnhinweise und Vorsichtsmaßnahmen

- Informationen über zellbasierte Arzneimittel, wie Skysona, müssen 30 Jahre lang im Krankenhaus aufbewahrt werden. Die Informationen, die über Sie oder Ihr Kind aufbewahrt werden, sind der Name und die Chargennummer von Skysona, das Sie/Ihr Kind erhalten haben/hat.
- Skysona wird aus Ihren eigenen Stammzellen oder denen Ihres Kindes hergestellt und sollte nur Ihnen oder Ihrem Kind gegeben werden.
- Da ein Bestandteil von Skysona (Dimethylsulfoxid, DMSO) eine allergische Reaktion auslösen kann, sollte Sie der Arzt oder das medizinische Fachpersonal während und nach der Infusion sorgfältig auf Anzeichen oder Symptome einer Reaktion überwachen.

Vor der Behandlung mit Skysona wird der Arzt

- die Nieren und die Leber überprüfen
- auf das humane Immundefizienzvirus (HIV) untersuchen
- mögliche Auswirkungen der Konditionierungsmedikamente auf die Fortpflanzungsfähigkeit besprechen (siehe weiter unten „*Fortpflanzungsfähigkeit bei Männern und Frauen*“)
- die Entnahme der Stammzellen (Mobilisierung) vorbereiten und die Zellen anschließend aus dem Knochenmark ihres Kindes entfernen, damit Skysona verabreicht werden kann (Konditionierung). Für weitere Informationen hierzu, einschließlich möglicher Nebenwirkungen der angewendeten Medikamente, siehe Abschnitte 3 und 4.

Nach der Behandlung mit Skysona

- Die Blutzellzahl kann nach der Konditionierung und Behandlung mit Skysona für mehr als 2 Monate niedrig bleiben. Während dieser Zeit kann ein Risiko für Blutungen und Infektionen bestehen. Der Arzt wird dies mithilfe von Blutuntersuchungen überwachen und Ihnen mitteilen, wenn die Blutwerte wieder auf ein sicheres Niveau gestiegen sind.
- Wenn Sie innerhalb der ersten 3 Monate nach der Verabreichung von Skysona eine Bluttransfusion benötigen, sollten die Blutprodukte bestrahlt werden. Dadurch werden die weißen Blutkörperchen, Lymphozyten genannt, reduziert und das Risiko einer Reaktion auf die Transfusion wird minimiert.
- Nach der Behandlung mit Skysona werden Sie nicht in der Lage sein, Blut, Organe, Gewebe oder Zellen zu spenden. Dies liegt daran, dass es sich bei Skysona um eine Gentherapie handelt.

- Das Hinzufügen eines neuen Gens in die Stammzellen könnte theoretisch Blutkrebs (Myelodysplasie, Leukämie und Lymphom) verursachen. Nach der Behandlung wird der Arzt Sie mindestens 15 Jahre lang jedes Jahr überwachen, wozu auch eine Blutuntersuchung gehört, und Sie auf Anzeichen von Blutkrebs untersuchen. Wenden Sie sich an den Arzt, wenn Sie Fieber haben, müder sind als sonst, unfreiwillig abgenommen haben oder bei Ihnen häufig Nasenbluten, Blutungen oder Blutergüsse auftreten.
- Skysona wird mit Teilen von HIV hergestellt, die so verändert wurden, dass sie keine HIV-Infektion verursachen können. Das Virus wird verwendet, um ein funktionierendes Gen in die Blutstammzellen Ihres Kindes einzufügen.
- Obwohl dieses Arzneimittel keine HIV-Infektion auslöst, kann Skysona im Blut ein falsch positives HIV-Testergebnis verursachen, da einige HIV-Tests ein Stück HIV erkennen, das zur Herstellung von Skysona verwendet wird. Wenn der Patient nach der Behandlung positiv auf HIV getestet wird, sollte er sich an den Arzt oder das medizinische Fachpersonal wenden.

Wenn die Skysona-Behandlung nicht abgeschlossen werden kann oder fehlschlägt

Vor der Behandlung mit Skysona erhalten Sie oder erhält Ihr Kind ein Konditionierungsmedikament, um Zellen aus dem vorhandenen Knochenmark zu entfernen.

Wenn Skysona nicht nach Gabe der Konditionierungsmedikamente verabreicht werden kann oder wenn die modifizierten Stammzellen im Körper nicht anwachsen (Engraftment), kann der Arzt Ihnen eine Infusion Ihrer eigenen ursprünglichen Blutstammzellen verabreichen, die vor Behandlungsbeginn entnommen und aufbewahrt wurden (siehe auch Abschnitt 3: Wie wird Skysona hergestellt und verabreicht?). Wenn Sie oder Ihr Kind Ihre/seine ursprünglichen Zellen zurückerhalten/zurückerhält, haben Sie bzw. hat Ihr Kind keinen Nutzen von der Behandlung.

Anwendung von Skysona zusammen mit anderen Arzneimitteln

Informieren Sie Ihren Arzt, wenn Sie oder Ihr Kind andere Arzneimittel anwenden/anwendet, kürzlich andere Arzneimittel angewendet haben/hat oder beabsichtigen/beabsichtigt, andere Arzneimittel anzuwenden.

Ihr Kind sollte für mindestens einen Monat vor der Verabreichung der Mobilisierungsmedikamente keine Arzneimittel für eine HIV-Infektion einnehmen (siehe auch Abschnitt 3: Wie wird Skysona hergestellt und verabreicht?). Wenn solche Medikamente notwendig sind, wird das Verfahren verschoben.

Es wird davon abgeraten, innerhalb von 6 Wochen vor dem Erhalt der Konditionierungsmedikamente zur Vorbereitung auf die Skysona-Behandlung sowie nach der Behandlung, während sich das Immunsystem (das Abwehrsystem des Körpers) erholt, **Lebendimpfstoffe** zu verabreichen. Sprechen Sie mit dem Arzt, wenn irgendwelche Impfungen notwendig sind.

Empfängnisverhütung, Schwangerschaft, Stillzeit und Fortpflanzungsfähigkeit

Empfängnisverhütung bei Männern und Frauen

Frauen, die schwanger werden könnten, und Männer, die in der Lage sind, ein Kind zu zeugen, müssen mit der Anwendung einer wirksamen Methode der Empfängnisverhütung vor der Entnahme seiner Blutstammzellen beginnen und eine solche bis mindestens 6 Monate nach Erhalt von Skysona beibehalten. Wirksame Methoden der Empfängnisverhütung beinhalten ein Intrauterinpressar oder eine Kombination von oralen Verhütungsmitteln (auch bekannt als die Pille) und Kondomen. Bitte lesen Sie auch die Angaben zur Empfängnisverhütung in der Packungsbeilage der Konditionierungsmedikamente.

Schwangerschaft

Skysona darf aufgrund der Konditionierungsmedikamente während der Schwangerschaft nicht angewendet werden.

Bei Frauen, die schwanger werden könnten, wird vor Beginn der Mobilisierung, vor der Gabe der Konditionierungsmedikamente und vor der Behandlung mit Skysona ein Schwangerschaftstest durchgeführt, um zu bestätigen, dass sie nicht schwanger sind. Frauen, die nach der Behandlung mit Skysona schwanger werden, sollten sie sich an ihren behandelnden Arzt wenden.

Das durch Skysona eingebrachte Gen wird bei einer Schwangerschaft nicht an den Fötus vererbt. Bei dem ungeborenen Kind besteht weiterhin das Risiko, das ursprüngliche *ABCD1*-Gen zu erben, das, wenn es fehlt oder nicht funktioniert, zu Adrenoleukodystrophie führt.

Stillzeit

Skysona darf während der Stillzeit nicht angewendet werden. Es ist nicht bekannt, ob die Bestandteile von Skysona in die Muttermilch übergehen können.

Fortpflanzungsfähigkeit bei Männern und Frauen

Nach der Behandlung mit Konditionierungsmedikamente ist es möglicherweise nicht mehr möglich, schwanger zu werden oder ein Kind zu zeugen. Wenn Sie sich diesbezüglich Sorgen machen, sollten Sie vor der Behandlung mit dem Arzt sprechen.

Verkehrstüchtigkeit und Fähigkeit zum Bedienen von Maschinen

Skysona hat keine Auswirkung auf die Verkehrstüchtigkeit und die Fähigkeit zum Bedienen von Maschinen. Allerdings können die Mobilisierungs- und die Konditionierungsmedikamente Schwindel und Müdigkeit verursachen. Sie oder Ihr Kind sollte(n) Aktivitäten vermeiden, die Gleichgewicht erfordern (z. B. Radfahren oder Skateboarden), und kein Kraftfahrzeug führen bzw. keine Maschinen bedienen, wenn Sie/Ihr Kind sich schwindelig, müde oder unwohl fühlen/fühlt.

Skysona enthält Natrium

Dieses Arzneimittel enthält 391–1.564 mg Natrium (Hauptbestandteil von Kochsalz/Speisesalz) pro Dosis. Dies entspricht 20–78 % der für einen Erwachsenen empfohlenen maximalen täglichen Natriumaufnahme mit der Nahrung.

3. Wie wird Skysona hergestellt und verabreicht?

Etwa 2 Monate vor der Behandlung mit Skysona erhalten Sie oder erhält Ihr Kind Medikamente, die Blutstammzellen aus dem Knochenmark in den Blutkreislauf ausschwemmen (Mobilisierung). Die Blutstammzellen können dann mit einer Maschine, die die Blutbestandteile voneinander trennt (Apheresemaschine), entnommen werden. Möglicherweise ist mehr als 1 Sitzung notwendig, damit genug Blutstammzellen sowohl für die Herstellung von Skysona als auch für die Aufbewahrung von Ersatzzellen gewonnen werden können, die verwendet werden, falls Skysona nicht verabreicht werden kann oder nicht wirkt.

Wie wird Ihnen bzw. Ihrem Kind Skysona verabreicht?

Skysona wird über einen Tropf (Infusion) in eine Vene verabreicht, oft über einen zentralen Venenkatheter. Es kann nur in einem Fachkrankenhaus von Ärzten verabreicht werden, die Erfahrung mit der Behandlung von Patienten mit CALD, der Transplantation von Knochenmark und der Anwendung von gentherapeutischen Medikamenten haben. Skysona ist eine einmalige Behandlung. Es wird nicht noch einmal verabreicht. Wenn Skysona nicht wirkt, kommen Sie erneut ins Behandlungszentrum und erhalten eine Transfusion Ihrer ursprünglichen Ersatzstammzellen. Da diese Zellen das Medikament nicht erhalten, wird Ihre CALD nicht behandelt.

Zeitpunkt	Was passiert	Warum
Etwa 2 Monate vor der Skysona-Infusion	Es wird ein Medikament für die Mobilisierung verabreicht.	Um die Blutstammzellen vom Knochenmark Ihres Kindes in den Blutkreislauf auszuschwemmen.
Etwa 2 Monate vor der Skysona-Infusion	Blutstammzellen werden entnommen.	Um Skysona herzustellen und um einige Stammzellen als Ersatzzellen aufzubewahren, falls diese benötigt werden.
Mindestens 6 Tage vor der Skysona-Infusion	Das Konditionierungsmedikament wird in einem Krankenhaus verabreicht.	Um das Knochenmark auf die Behandlung vorzubereiten, indem Zellen im Knochenmark zerstört werden, damit sie durch die modifizierten Zellen in Skysona ersetzt werden können.
Beginn der Skysona-Behandlung	Skysona wird über einen Tropf (Infusion) in eine Vene verabreicht. Dies wird in einem Krankenhaus durchgeführt und dauert weniger als 60 Minuten pro Infusionsbeutel. Die Anzahl der Infusionsbeutel ist von Patient zu Patient unterschiedlich.	Um dem Knochenmark Blutstammzellen mit dem ALDP-Gen hinzuzufügen.
Nach der Skysona-Infusion	Sie oder Ihr Kind bleiben/bleibt wahrscheinlich ungefähr 3–6 Wochen im Krankenhaus.	Um zu genesen und überwacht zu werden, bis der Arzt der Meinung ist, dass es 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 stehen in Zusammenhang mit den Mobilisierungsmedikamenten und der Entnahme von Blutstammzellen oder den Konditionierungsmedikamenten, die zur Vorbereitung des Knochenmarks für die Behandlung mit Skysona verwendet werden. Besprechen Sie mögliche Nebenwirkungen durch Arzneimittel für die Mobilisierung und die Konditionierungsmedikamente mit dem Arzt. Sie sollten auch die Packungsbeilagen für diese Arzneimittel lesen.

Wenn Sie oder Ihr Kind Nebenwirkungen nach der Verabreichung der Behandlung bemerken/bemerkt, **wenden Sie sich umgehend an den Arzt oder das medizinische Fachpersonal.** Die nachstehenden Nebenwirkungen treten gewöhnlich innerhalb der ersten Tage und Wochen nach der Verabreichung der Behandlung auf, sie können aber auch sehr viel später auftreten.

Mobilisierung und Stammzellgewinnung

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

- Niedriger Kaliumspiegel, der in einer Blutuntersuchung festgestellt wird

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

- Niedriger Spiegel von Blutplättchen, was zu Blutungen führen kann

- Niedriger Spiegel von roten Blutkörperchen, was zu Müdigkeit führen kann
- Niedriger Magnesiumspiegel, der in einer Blutuntersuchung festgestellt wird
- Kopfschmerzen
- Bluthochdruck
- Übelkeit, Erbrechen
- Kribbelgefühl im Mund
- Juckende Haut
- Schmerzen in den Knochen, Armen und Beinen

Konditionierungsmedikamente

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

- Niedrige Anzahl roter und weißer Blutkörperchen, manchmal mit Fieber, was zu einer Infektion führen kann
- Niedrige Anzahl von roten Blutkörperchen, was zu Müdigkeit führen kann
- Niedrige Anzahl von Blutplättchen, was zu Blutungen führen kann
- Fieber
- Schmerzen im Mund
- Nasenbluten
- Blutuntersuchungen, die eine Verringerung von Magnesium, Kalium und Phosphat zeigen, erhöhte Leberenzyme
- Kopfschmerzen
- Verminderter Appetit
- Magenschmerzen, Verstopfung, Durchfall
- Übelkeit, Erbrechen
- Ungewöhnlicher Haarausfall oder dünner werdendes Haar
- Dunkle Stellen auf der Haut
- Bluthochdruck

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

- Unterschiedliche Arten von Infektionen in verschiedenen Körperteilen, die durch Viren, Bakterien oder Pilze verursacht werden können. Dazu können eine Blutvergiftung oder Venenkatheter-Infektionen, Infektionen des Magendarmtrakts, Ohrinfektionen, Mundfäule, Pilzinfektionen des Afters und Atemwegsinfektionen gehören. Sie können mit Symptomen wie Hitzegefühl (Fiebrigkeit), Schüttelfrost oder Schwitzen, Husten, Durchfall und Erbrechen einhergehen.
- Funktionsstörung der Nebennieren, was zu einem gefährlich niedrigen Blutdruck führen kann
- Niedriger Sauerstoffgehalt im Blut, der mit einem Monitor gemessen wird
- Hoher Spiegel des antidiuretischen Hormons, was zu einer Wasseransammlung im Körper führen kann
- Entzündung der Schleimhaut des Verdauungstrakts (der vom Mund bis zum After reicht), kleiner Riss im Gewebe, das den After auskleidet (Analfissur), Entzündung oder Juckreiz des Afters
- Blut im Stuhl, Punkte auf der Haut von Blutungen unter der Haut, Blutung im Auge, verlängerte Zeit bis zur Blutgerinnung
- Magenreizung
- Harninkontinenz, Blut im Urin, Beschwerden beim Wasserlassen, Schmerzen in den Harnwegen
- Schmerzen im Hals, Mund, Rektum, Penis, in den Lymphknoten

- Langsame oder schnelle Herzfrequenz
- Schnelle Atmung
- Übermäßiges Schwitzen
- Abnahme von Antikörpern, festgestellt anhand einer Blutuntersuchung
- Abnahme von Natrium, festgestellt anhand einer Blutuntersuchung; Anstieg von alkalischer Phosphatase und Laktatdehydrogenase, festgestellt anhand einer Blutuntersuchung
- Niedriger Blutzuckerspiegel
- Husten
- Laufende Nase
- Abnahme des Hautempfindens an den Beinen
- Trockene, sich abschälende oder juckende Haut, Hautausschlag, Windelausschlag, wunde Stelle auf dem Hodensack
- Unwillkürliche Bewegung (Tremor)
- Abnahme der Reflexe
- Allergische Reaktion auf Blutplättchen-Transfusion
- Widerwille gegen die Einnahme von Medikamenten
- Schwellung im Gesicht oder am Körper (Ödem)
- Müdigkeit, Schlafstörungen
- Gewichtszunahme oder -abnahme

Skysona

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

- Niedrige Anzahl von weißen Blutkörperchen, was zu einer Infektion führen kann
- Niedrige Anzahl von roten Blutkörperchen, was zu Abgeschlagenheit führen kann
- Niedrige Anzahl von Blutplättchen, was zu Blutungen führen kann
- Virale Infektionen der Blase. Sie können mit Symptomen wie Hitzegefühl (Fiebrigkeit), Schüttelfrost oder Schwitzen, Blut im Urin, Schmerzen im Unterbauch und bei kleinen Kindern auch mit Erbrechen einhergehen.
- Erbrechen

Meldung von Nebenwirkungen

Wenn Sie oder Ihr Kind Nebenwirkungen bemerken/bemerkt, wenden Sie sich an den 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 Skysona aufzubewahren?

Diese Informationen sind nur für medizinisches Fachpersonal bestimmt. Sie werden dem Patienten lediglich zur Kenntnisnahme mitgeteilt.

Bewahren Sie dieses Arzneimittel für Kinder unzugänglich auf.

Sie dürfen dieses Arzneimittel nach dem auf dem äußeren Behältnis und dem Infusionsbeutel angegebenen Verfalldatum nicht mehr verwenden.

Das Arzneimittel bis zu sechs Monate bei oder unter -140 °C lagern.

Bewahren Sie den/die Infusionsbeutel in der/den Metallkassette(n) auf.

Nach dem Auftauen nicht wieder einfrieren.

Das Arzneimittel bis unmittelbar vor der Anwendung nicht auftauen. Nach dem Auftauen bei Raumtemperatur (20 °C–25 °C) aufbewahren und innerhalb von 4 Stunden verwenden.

6. Inhalt der Packung und weitere Informationen

Was Skysona enthält

- Der Wirkstoff von Skysona besteht aus den eigenen Blutstammzellen Ihres Kindes, die funktionsfähige Kopien des ALDP-Gens enthalten. Die Konzentration in jedem Infusionsbeutel beträgt 2–30 x 10⁶ Blutstammzellen pro Milliliter.
- Der sonstige Bestandteil ist eine Lösung, die für die Konservierung gefrorener Zellen verwendet wird (siehe Abschnitt 2, Skysona enthält Natrium).

Dieses Arzneimittel enthält genetisch veränderte menschliche Blutzellen.

Wie Skysona aussieht und Inhalt der Packung

Skysona ist eine farblose, weiße bis rote Zelldispersion, einschließlich weißen oder rosafarbenen, hellgelben und orangefarbenen Schattierungen. Das Arzneimittel wird in einem oder mehreren klaren Infusionsbeuteln geliefert, von denen jeder in einem durchsichtigen Beutel in einem geschlossenen Metallbehälter verpackt ist. Skysona kann in einem oder mehreren 20-ml-Beuteln verpackt sein, abhängig von der Gesamtanzahl der vorhandenen Zellen. Für eine vollständige Dosis können ein oder mehrere Beutel verabreicht werden.

Der Name des Patienten und sein Geburtsdatum sowie kodierte Informationen, die Sie oder Ihr Kind 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

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 (0800 728 026)

Ελλάδα and 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)

België/Belgique/Belgien, България, Česká republika, Danmark, Eesti, España, Hrvatska, Ireland, Ísland, Latvija, Lietuva, Luxembourg/Luxemburg, Magyarország, Malta, Norge, Vereinigtes Königreich (Nordirland), Österreich, Polska, Portugal, România, Slovenija, Slovenská republika, Suomi/Finland, Sverige

bluebird bio (Netherlands) B.V.
Tél/Tel/Тел/Tlf/Τηλ/Sími/Puh:
+31 (0) 303 100 450
medinfo@bluebirdbio.com

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

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

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

Die folgenden Informationen sind für medizinisches Fachpersonal bestimmt:**Vorsichtsmaßnahmen vor / bei der Handhabung bzw. vor / während der Anwendung des Arzneimittels**

- Dieses Arzneimittel enthält gentechnisch veränderte menschliche Blutzellen. Angehörige von Gesundheitsberufen, die mit Skysona umgehen, sollten entsprechende Vorsichtsmaßnahmen (Tragen von Handschuhen, Schutzkleidung und Schutzbrille) treffen, um eine mögliche Übertragung von Infektionskrankheiten zu vermeiden.
- Bewahren Sie den/die Infusionsbeutel in der/den Metallkassette(n) auf und lagern Sie ihn/sie in der Dampfphase von flüssigem Stickstoff bei ≤ 140 °C, bis er/sie zum Auftauen und zur Verabreichung bereit ist.

Vorbereitung für die Infusion

- Skysona wird in einem Kryocontainer, der mehrere Metallkassetten enthalten kann, die für einen einzelnen Patienten bestimmt sind, von der Produktionsstätte an die Aufbewahrungseinrichtung des Infusionszentrums verschickt. Jede Metallkassette enthält einen Infusionsbeutel mit Skysona. Für einen Patienten können mehrere Infusionsbeutel vorhanden sein.
- Entnehmen Sie alle Metallkassetten der Flüssigstickstoffaufbewahrung und nehmen Sie alle Infusionsbeutel aus den Metallkassetten.