

**Informatie voor de patiënt,  
ouders en verzorgers  
van de patiënt**

**HEMGENIX<sup>®</sup>**

▼ (etranacogen dezaparvovec)



 **HEMGENIX<sup>®</sup>**  
etranacogen dezaparvovec

Let op bij het gebruik van HEMGENIX® of etranacogen dezaparvovec.

Etranacogen dezaparvovec is de werkzame stof in het medicijn. Uw medicijn kan een merknaam hebben die anders is dan de werkzame stof. Kijk dus goed over welk medicijn dit gaat.

- ▼ Dit medicijn staat onder extra toezicht. Dit zorgt ervoor dat we snel nieuwe informatie over de veiligheid van dit medicijn verkrijgen.

Lees zorgvuldig deze handleiding voor patiënt/verzorger voordat u etranacogen dezaparvovec toegediend krijgt want er staat belangrijke informatie in voor u.

Naast deze handleiding voor patiënt/verzorger, zal uw arts u een patiëntenkaart geven. Lees deze aandachtig en volg de instructies die erin staan.

## Patiëntenkaart

Waarschuingskaart voor de patiënt HEMGENIX® (etranacogen dezaparvovec)

▼ Dit medicijn staat onder extra toezicht.

Meld bijwerkingen bij het Nederlands Bijwerkingencentrum Lareb.

Naam patiënt: .....

.....

Datum toediening etranacogen dezaparvovec:

.....

Wat kan u in deze handleiding voor patiënt/verzorger vinden?

1. **Wat is etranacogen dezaparvovec en waarvoor wordt dit middel gebruikt?..... 4**
2. **Hoe werkt etranacogen dezaparvovec?..... 4**
3. **Wat u moet weten voordat u etranacogen dezaparvovec toegediend krijgt..... 4**
  - a. Leverfunctie (hoe goed uw lever werkt).....5
  - b. Ongewone bloedstolling (trombo-embolie)..... 6
  - c. Mogelijk risico op kwaadaardige ziekte met etranacogen dezaparvovec.....7
  - d. Overdracht van etranacogen dezaparvovec.....8
  - e. Ontwikkeling van factor IX-remmers..... 8
  - f. Bestaande immuniteit tegen de vector.....8
4. **Opvolging op lange termijn na toediening van etranacogen dezaparvovec..... 9**
5. **Waar dient de patiëntenkaart voor?..... 10**
6. **Meld bijwerkingen bij het Nederlands Bijwerkingencentrum Lareb.....11**
7. **Meer informatie..... 11**

## 1. Wat is etranacogen dezaparvovec en waarvoor wordt dit middel gebruikt?

Etranacogen dezaparvovec is een product voor gentherapie dat de werkzame stof etranacogen dezaparvovec bevat.

Mensen met hemofilie B worden geboren met een gewijzigde vorm van het gen dat nodig is om factor IX aan te maken, een noodzakelijk eiwit om bloed te doen stollen en bloedingen te stoppen. Mensen met hemofilie B hebben te lage concentraties van factor IX en zijn vatbaar voor inwendige en uitwendige bloedingen.

Etranacogen dezaparvovec wordt gebruikt als behandeling voor ernstige en matig ernstige hemofilie B (een aangeboren tekort aan factor IX) bij volwassen patiënten die nu of in het verleden geen remmers tegen het factor IX-eiwit, zogenaamde Factor IX-remmers, hebben of hadden.

## 2. Hoe werkt etranacogen dezaparvovec?

De werkzame stof in etranacogen dezaparvovec is gebaseerd op een virus dat geen ziekte veroorzaakt bij de mens. Dat virus is gewijzigd zodat het zich niet in het lichaam kan verspreiden maar wel een kopie van het factor IX-gen kan afgeven aan de levercellen. Daardoor kan de lever het factor IX-eiwit aanmaken en stijgen de concentraties van werkende factor IX in het bloed. Dat bevordert de normale bloedstolling en voorkomt of vermindert bloedingen.

## 3. Wat u moet weten voordat u etranacogen dezaparvovec toegediend krijgt

Het is belangrijk dat u volledig begrijpt wat de voordelen en risico's zijn van een behandeling met etranacogen dezaparvovec, wat er bekend is en nog niet bekend is over de effecten op lange termijn van deze behandeling, zowel op het gebied van veiligheid als werkzaamheid. In de onderstaande secties vindt u belangrijke informatie over de behandeling met etranacogen dezaparvovec. Lees het zorgvuldig door en bespreek met uw arts of verpleegkundige andere vragen die u heeft.

### a. Leverfunctie (hoe goed uw lever werkt)

## VOOR DE BEHANDELING MET ETRANACOGEN DEZAPARVOVEC

Om te bepalen of deze behandeling geschikt is voor u, zal uw arts, voor u start met de behandeling met etranacogen dezaparvovec, de toestand van uw lever controleren en volgende tests uitvoeren:

- bloedtests om de concentratie van leverenzymen in uw bloed te bepalen,
- echografie van de lever,
- elastografie om na te gaan of uw lever littekenvorming of verdikking vertoont.

## NA DE BEHANDELING MET ETRANACOGEN DEZAPARVOVEC

Na de behandeling met etranacogen dezaparvovec zal uw arts uw gezondheid blijven controleren. Het is **belangrijk** dat u **het schema voor deze bloedonderzoeken** met uw arts **bespreekt**, zodat ze indien nodig kunnen worden uitgevoerd.

Etranacogen dezaparvovec zal een reactie van uw immuunsysteem opwekken die kan leiden tot een verhoogde concentratie in uw bloed van bepaalde leverenzymen, transaminasen genoemd (transaminitis). **Uw arts zal de waarden van uw leverenzymen regelmatig controleren** om er zeker van te zijn dat het geneesmiddel goed werkt:

|                                                 |                                                |                                     |                                                               |
|-------------------------------------------------|------------------------------------------------|-------------------------------------|---------------------------------------------------------------|
| In de eerste 3 maanden:<br>ten minste elke week | Vanaf maand 4 tot een jaar:<br>om de 3 maanden | Het tweede jaar:<br>om de 6 maanden | Na tweede jaar:<br>om de 12 maanden<br>voor ten minste 5 jaar |
|-------------------------------------------------|------------------------------------------------|-------------------------------------|---------------------------------------------------------------|



- Als de concentratie van uw leverenzymen stijgt, is het mogelijk dat u vaker bloedtests moet ondergaan om die waarden te controleren, tot ze weer normaal zijn.
- Het zou kunnen dat u ook een ander geneesmiddel (corticosteroiden - medicijnen die ontstekingen en allergische reacties minder erg maken) moet innemen om die bijwerkingen te behandelen.
- U moet de arts informeren over het huidige gebruik van corticosteroiden (medicijnen die ontstekingen en allergische reacties minder erg maken) of andere immunosuppressiva (medicijnen die zorgen dat de afweer van uw lichaam minder hard werkt). Indien u geen corticosteroiden mag nemen, kan de arts alternatieve geneesmiddelen aanbevelen om leverproblemen te behandelen.
- Uw arts kan ook extra tests uitvoeren om andere oorzaken voor de stijging van uw leverenzymen uit te sluiten, indien nodig in samenspraak met een arts die gespecialiseerd is in leverziekten.

Zowel voor als na de behandeling wordt aanbevolen dat u **geen medicatie gebruikt die leverschade kan veroorzaken. Gebruikt u nog andere geneesmiddelen, heeft u dat kortgeleden gedaan of bestaat de mogelijkheid dat u binnenkort andere geneesmiddelen gaat gebruiken? Vertel dat dan uw arts of verpleegkundige.** Als u medicatie gebruikt waarvan bekend is dat het schadelijk is voor de lever (hepatotoxische medicatie), kan uw arts beslissen dat u met die medicatie moet stoppen om etranacogen dezaparvovec te kunnen krijgen.

#### b. Ongewone bloedstolling (trombo-embolie)

Als patiënt met hemofilie B, heeft u gewoonlijk een verminderd risico op ongewone bloedstolling (trombo-embolie = een bloedpropje dat zich in een bloedvat vormt, losraakt en door de bloedbaan wordt gedragen en een ander bloedvat kan blokkeren), zoals longembolie of diepe veneuze (in de ader) trombose (bloedpropje dat vastzit) als gevolg van een aangeboren stoornis van het stollingsproces.

Het herstellen van de factor IX-activiteit kan u blootstellen aan het mogelijke risico op ongewone bloedstolling, zoals dat in de populatie zonder hemofilie gezien wordt.

Als u al bestaande risicofactoren heeft voor ongewone bloedstolling, zoals een voorgeschiedenis van hartziekte (cardiovasculaire of cardiometabole ziekte), dikke en stijve slagaders (arteriosclerose), een hoge bloeddruk (hypertensie), suikerziekte (diabetes) of gevorderde leeftijd, kan het potentiële risico op ongewone bloedstolling hoger zijn.

*Wees u bewust van verschijnselen van ongewone stolling:*

Verschijnselen van ongewone stolling kunnen zijn:

Plotse pijn in de borstkas, kortademigheid, plotse spierzwakte, gevoelsverlies en/of evenwichtsverlies, verminderde alterheid, spraakproblemen of zwelling in een of beide benen.



Als u verschijnselen opmerkt van ongewone stolling:

**Raadpleeg onmiddellijk uw arts**

#### c. Mogelijk risico op kwaadaardige ziekte met etranacogen dezaparvovec

Etranacogen dezaparvovec komt terecht in uw levercellen en mogelijk komt het terecht in het DNA (het erfelijke materiaal in mensen) van de levercellen of van andere lichaamscellen. Als gevolg daarvan zou etranacogen dezaparvovec kunnen bijdragen aan het risico op kanker, zoals leverkanker (hepatocellulair carcinoom). Hoewel daar in de klinische studies tot nu toe geen bewijs voor is, blijft dat mogelijk gezien de aard van het geneesmiddel. U moet dat dus met uw arts bespreken.

- Als u een patiënt bent met bestaande risicofactoren voor leverkanker (hepatocellulair carcinoom) **zal uw arts de toestand van uw lever op lange termijn, gedurende minstens 5 jaar na toediening van etranacogen dezaparvovec, regelmatig (bv. jaarlijks) controleren** en de volgende tests uitvoeren:
  - jaarlijkse echografie van de lever en
  - jaarlijkse bloedtest om stijgingen van het zogeheten alfafoetoproteïne op te sporen.

Sommige risicofactoren voor leverkanker (hepatocellulair carcinoom) zijn:

- leverfibrose (littekenvorming en verdikking van de lever)
  - (eerdere) besmetting met hepatitis B, hepatitis C
  - leververvetting (niet-alcoholische leververvetting (NAFLD))
  - als u te veel alcohol drinkt
- Als u kanker krijgt, kan uw arts een monster van uw tumor (biopsie) nemen om na te gaan of etranacogen dezaparvovec in het DNA van de cellen geïntegreerd is.

#### d. Overdracht van etranacogen dezaparvovec

De werkzame stof in etranacogen dezaparvovec kan tijdelijk uitgescheiden worden via uw bloed, sperma, moedermelk, urine of uitwerpselen, een proces dat 'shedding' genoemd wordt.

Om ervoor te zorgen dat mensen zonder hemofilie B niet blootgesteld worden aan DNA van etranacogen dezaparvovec via het proces van shedding in uw lichaam en/of sperma, **zult u na uw behandeling met etranacogen dezaparvovec geen bloed, sperma, organen, weefsels of cellen voor transplantatie mogen doneren.**

Als een mannelijke patiënt behandeld is met etranacogen dezaparvovec, moeten de patiënt en zijn vrouwelijke partner **gedurende 12 maanden een zwangerschap vermijden**. U moet een **doeltreffend voorbehoedsmiddel** gebruiken (bijvoorbeeld een barrièremethode zoals een condoom of een pessarium). Dat is om het theoretische risico te vermijden dat het factor IX-gen van de behandeling met etranacogen dezaparvovec van de vader overgedragen wordt op een kind, met onbekende gevolgen. Om dezelfde reden mogen mannelijke patiënten geen sperma doneren. **Bespreek met uw arts welke voorbehoedsmiddelen geschikt zijn.**

Etranacogen dezaparvovec is niet aanbevolen bij vrouwen die zwanger zijn of zwanger kunnen worden.

#### e. Ontwikkeling van factor IX-remmers

Neutraliserende antilichamen tegen factor IX-eiwitten, factor IX-remmers genaamd, kunnen de werking van etranacogen dezaparvovec belemmeren.

Uw arts kan uw bloed controleren op die factor IX-remmers als uw bloedingen niet onder controle zijn of als u opnieuw bloedingen krijgt nadat u etranacogen dezaparvovec gekregen heeft.

#### f. Bestaande immuniteit tegen de vector

Sommige mensen kunnen natuurlijke al bestaande "immuniteit" (d.w.z. antilichamen, ook antistoffen genoemd, stoffen die uw lichaam maakt om u te beschermen tegen ziektes) hebben tegen adeno-geassocieerde virus (AAV) vectoren die worden gebruikt voor gentherapie - dit kan voorkomen dat de genetische informatie effectief wordt geleverd.

Hoge reeds vooraf bestaande immuniteit tegen de vector kan de werkzaamheid van etranacogen dezaparvovec verminderen.

Daarom **wordt verwacht dat u vóór de behandeling met etranacogen dezaparvovec wordt beoordeeld op de titer van reeds bestaande neutraliserende anti-AAV5-antilichamen.**

#### g. Reactie op de behandeling

Er is een mogelijkheid dat niet alle patiënten voordeel hebben van een behandeling met etranacogen dezaparvovec.

Patiënten die geen respons hebben op de behandeling, zijn nog steeds blootgesteld aan de risico's op de lange termijn.

Er zijn geen plannen om etranacogen dezaparvovec opnieuw toe te dienen indien u geen respons heeft op de behandeling of als de respons is afgelopen.

#### 4. Opvolging op lange termijn na toediening van etranacogen dezaparvovec

De werkzaamheid en veiligheid van etranacogen dezaparvovec op lange termijn zijn nog onbekend.

Daarom wordt van u verwacht dat u na de behandeling met etranacogen dezaparvovec **deelneemt aan een opvolgstudie die als doel heeft de veiligheid van de behandeling op lange termijn gedurende 15 jaar na te gaan, te evalueren hoe goed het blijft werken en eventuele bijwerkingen van de behandeling te bestuderen.**

**U wordt aangemoedigd om vóór de behandeling met etranacogen dezaparvovec met uw arts te praten voor aanvullende informatie over de opvolgstudie.**

## 5. Waar dient de patiëntenkaart voor?

De patiëntenkaart bevat belangrijke veiligheidsinformatie die u en elke verzorger mogelijk moet weten **na behandeling met etranacogen dezaparvovec**.

Zoals uitgelegd in deze handleiding, moeten bepaalde aanbevelingen worden opgevolgd voor een veilig gebruik van etranacogen dezaparvovec en is het daarom essentieel om deze informatie te delen met alle gezondheidszorgbeoefenaren die u mogelijk moet raadplegen. Dit is de rol van de patiëntenkaart.

- Uw arts moet u een etranacogen dezaparvovec patiëntenkaart geven op de dag van etranacogen dezaparvovec toediening.
- Draag deze altijd bij u. U kan het in uw portefeuille of tas bewaren.
- Toon de patiëntenkaart aan elke arts of verpleegkundige wanneer u een medische afspraak heeft.
- Als u naar een eerstehulpafdeling moet gaan, toon deze dan zodra u aankomt.
- Vertel uw verzorger of iemand in uw omgeving over uw behandeling en laat hun de patiëntenkaart zien, omdat zij bijwerkingen kunnen opmerken waarvan u zich niet bewust bent.

Deze kaart herinnert u ook aan belangrijke informatie die u moet weten over belangrijke risico's die zich kunnen voordoen.

### Patiëntenkaart

Waarschuingskaart voor de patiënt HEMGENIX® (etranacogen dezaparvovec)

▼ Dit medicijn staat onder extra toezicht.  
Meld bijwerkingen bij het Nederlands Bijwerkingencentrum Lareb.

Naam patiënt: .....

.....

Datum toediening etranacogen dezaparvovec:

.....

## 6. Meld bijwerkingen bij het Nederlands Bijwerkingencentrum Lareb

- ▼ Dit medicijn staat onder extra toezicht. Dit zorgt ervoor dat we snel nieuwe informatie over de veiligheid van dit medicijn verkrijgen.

Neem contact op met uw arts als u last krijgt van bijwerkingen. Doe dit ook bij bijwerkingen die niet in de bijsluiter staan. U kunt bijwerkingen melden via het Nederlands Bijwerkingencentrum Lareb, website: [www.lareb.nl](http://www.lareb.nl). Door bijwerkingen te melden helpt u ons aan meer informatie over de veiligheid van dit medicijn.

Bijwerkingen geassocieerd met het gebruik van etranacogen dezaparvovec kunnen ook worden gemeld aan de dienst voor Geneesmiddelenbewaking van CSL Behring op het telefoonnummer +31 85 111 9600 of per e-mail naar [pv.cslbehring@qplusconsult.com](mailto:pv.cslbehring@qplusconsult.com).

## 7. Meer informatie

Deze informatie is ook terug te vinden op:  
<https://cslbehring.nl/producten/productportfolio/risicominimalisatiemateriaal>

Lees de bijsluiter voor meer informatie over uw medicijn op [www.geneesmiddeleninformatiebank.nl](http://www.geneesmiddeleninformatiebank.nl) of op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau (<http://www.ema.europa.eu/>). Ga met vragen over uw medicijn naar uw arts of apotheker.

Dit materiaal is goedgekeurd door het Nederlandse College ter Beoordeling van Geneesmiddelen ([www.cbg-meb.nl](http://www.cbg-meb.nl)).

