

B. ULOTKA DLA PACJENTA

Ulotka dołączona do opakowania: informacja dla użytkownika

BEQVEZ 0,79 – $1,21 \times 10^{13}$ genomów wektora/ml koncentratu do sporządzania roztworu do infuzji fidanakogen elaparwówek

▼ Niniejszy produkt leczniczy będzie dodatkowo monitorowany. Umożliwi to szybkie zidentyfikowanie nowych informacji o bezpieczeństwie. Użytkownik leku też może w tym pomóc, zgłaszając wszelkie działania niepożądane, które wystąpiły po zastosowaniu leku. Aby dowiedzieć się, jak zgłaszać działania niepożądane – patrz punkt 4.

Należy uważnie zapoznać się z treścią ulotki przed zastosowaniem leku, ponieważ zawiera ona informacje ważne dla pacjenta.

- Należy zachować tę ulotkę, aby w razie potrzeby móc ją ponownie przeczytać.
- W razie jakichkolwiek wątpliwości należy zwrócić się do lekarza.
- Jeśli wystąpią jakiegokolwiek objawy niepożądane, w tym wszelkie objawy niepożądane niewymienione w tej ulotce, należy powiedzieć o tym lekarzowi. Patrz punkt 4.
- Lekarz wyda pacjentowi kartę pacjenta. Należy uważnie zapoznać się z jej treścią i przestrzegać zawartych tam instrukcji.

Spis treści ulotki

1. Co to jest lek **BEQVEZ** i w jakim celu się go stosuje
2. Informacje ważne przed zastosowaniem leku **BEQVEZ**
3. Jak stosować lek **BEQVEZ**
4. Możliwe działania niepożądane
5. Jak przechowywać lek **BEQVEZ**
6. Zawartość opakowania i inne informacje

1. Co to jest lek BEQVEZ i w jakim celu się go stosuje

BEQVEZ jest lekiem przeznaczonym do terapii genowej, który zawiera substancję czynną o nazwie fidanakogen elaparwówek. Lek do terapii genowej działa poprzez dostarczenie genu do organizmu w celu skorygowania wady genetycznej.

BEQVEZ jest stosowany w leczeniu ciężkiej i umiarkowanej ciężkiej hemofilii B (wrodzonego niedoboru czynnika IX) u osób dorosłych, u których nie występują obecnie ani nie występowały w przeszłości inhibitory czynnika IX i którzy nie mają przeciwciał przeciwko serotypowi Rh74var wektora wirusowego AAV.

Osoby z hemofilią B rodzą się ze zmienioną formą genu potrzebnego do wytwarzania czynnika IX, białka niezbędnego do krzepnięcia krwi i zatrzymywania krwawień. U osób z hemofilią B występuje niewystarczająca aktywność czynnika IX i są one podatne na epizody krwawień zarówno wewnętrznych, jak i zewnętrznych.

Jak działa lek BEQVEZ

Substancja czynna leku BEQVEZ, fidanakogen elaparwówek, dostarcza do organizmu „działającą” wersję genu czynnika IX w celu korekty wady genetycznej powodującej problemy z krwawieniem. Gen ten jest zintegrowany z wirusem zmodyfikowanym w taki sposób, aby nie mógł rozprzestrzeniać się w organizmie, ale był w stanie dostarczyć kopię genu czynnika IX do komórek wątroby. Umożliwia to komórkom wątroby wytwarzanie białka czynnika IX i zwiększenie ilości aktywnego czynnika IX we krwi. Pomaga to w lepszym krzepnięciu krwi i zapobiega epizodom krwawienia lub je ogranicza.

2. Informacje ważne przed zastosowaniem leku BEQVEZ

Kiedy nie stosować leku BEQVEZ

- jeśli pacjent ma uczulenie na fidasakogen elaprowek lub którykolwiek z pozostałych składników tego leku (wymienionych w punkcie 6).
- jeśli u pacjenta występuje aktywne zakażenie o przebiegu ostrym (krótkoterminowym) lub przewlekłym (długoterminowym), które nie jest kontrolowane lekami (patrz punkt 2, „Ostrzeżenia i środki ostrożności”).
- jeśli pacjent cierpi na zaawansowane zwłóknienie wątroby (zbliznowacenie i zgrubienie tkanki wątroby) lub zaawansowaną marskość wątroby (zbliznowacenie spowodowane długotrwałym uszkodzeniem wątroby) (patrz punkt 2, „Ostrzeżenia i środki ostrożności”).

Jeśli którekolwiek z powyższych kryteriów dotyczy pacjenta lub jeśli pacjent nie ma pewności co do któregośkolwiek z nich, przed rozpoczęciem stosowania leku BEQVEZ należy omówić to z lekarzem.

Ostrzeżenia i środki ostrożności

Przed zastosowaniem leku BEQVEZ lekarz zleci przeprowadzenie kilku badań.

Badania krwi na obecność przeciwciał

Lekarz zleci wcześniej wykonanie odpowiedniego badania krwi w celu sprawdzenia, czy pacjent ma przeciwciała (białka) skierowane przeciwko rodzajowi wirusa użytego do wytworzenia tego leku. Przeciwciała te mogą uniemożliwiać prawidłowe działanie leku.

Badania oceniające stan wątroby

Czynnik IX jest wytwarzany w komórkach wątroby po zastosowaniu leku BEQVEZ. Jeśli pacjent ma lub miał problemy z wątrobą, należy powiedzieć o tym lekarzowi.

Ten lek może prowadzić do zwiększenia aktywności pewnych enzymów (białek obecnych w organizmie), które są zwykle wytwarzane przez uszkodzoną wątrobę.

Aby podjąć decyzję, czy ten lek jest odpowiedni dla pacjenta, przed rozpoczęciem leczenia lekarz zleci wykonanie badań w celu sprawdzenia stanu wątroby. Obejmuje to:

- badania krwi w celu sprawdzenia poziomu enzymów wątrobowych i bilirubiny (produktu rozkładu krwinek czerwonych)
- badania pod kątem zwłóknienia (zbliznowacenia i zgrubienia tkanki) wątroby.

Należy dowiedzieć się od lekarza, co można zrobić, aby poprawić i utrzymać stan zdrowia wątroby, z uwzględnieniem tego, w jaki sposób inne przyjmowane leki mogą wpływać na wątrobę (patrz punkt 2, „BEQVEZ a inne leki”).

Po zastosowaniu leku BEQVEZ

Działania niepożądane związane z wlewem

Działania niepożądane związane z wlewem, w tym reakcje nadwrażliwości (alergiczne), mogą wystąpić w trakcie wlewu (kroplówki) leku BEQVEZ lub wkrótce po nim. Lekarz będzie monitorował stan pacjenta podczas wlewu i przez co najmniej 3 godziny po jego zakończeniu.

Objawy działań niepożądanych związanych z wlewem mogą obejmować niskie ciśnienie krwi, gorączkę, palpitacje, nudności, wymioty, dreszcze lub ból głowy. Należy **niezwłocznie** powiedzieć lekarzowi, jeśli pojawią się te lub inne objawy w trakcie wlewu leku lub wkrótce po jego zakończeniu.

W zależności od objawów u pacjenta wlew może zostać spowolniony lub przerwany. Jeżeli wlew zostanie przerwany, można go wznowić w wolniejszym tempie po ustąpieniu reakcji na wlew. Lekarz może także rozważyć, czy pacjentowi należy podawać leki łagodzące reakcję na wlew.

Regularne badania krwi

Po zakończeniu stosowania leku BEQVEZ lekarz będzie nadal kontrolował stan zdrowia pacjenta. Istotne jest omówienie z lekarzem harmonogramu tych badań krwi, aby w razie potrzeby można je było wykonać. Przez pierwszy rok lekarz będzie zlecał wykonywanie badań poziomu enzymów wątrobowych i aktywności czynnika IX raz lub dwa razy w tygodniu przez pierwsze 12 tygodni, a potem, od 13. do 18. Tygodnia - raz w tygodniu, po czym w 24., 32., 42. i 52. tygodniu. Następnie, od 2. roku do końca 3. roku badania będą wykonywane raz na kwartał, po czym od 4. roku do końca 6. roku - dwa razy w roku, a po 6. roku - raz na rok.

Enzymy wątrobowe

Lek BEQVEZ wywołuje reakcję układu odpornościowego (naturalnych mechanizmów obronnych organizmu). Może to prowadzić do zwiększenia we krwi poziomu pewnych enzymów wątrobowych, zwanych transaminazami. Lekarz będzie regularnie monitorować poziom enzymów wątrobowych, aby upewnić się, że lek działa prawidłowo:

- Jeśli u pacjenta dojdzie do zwiększenia aktywności enzymów wątrobowych, może zaistnieć konieczność częstszego wykonywania badań krwi w celu monitorowania aktywności enzymów wątrobowych, dopóki nie powróci ona do normy.
- Jeśli zajdzie taka potrzeba, lekarz, po konsultacji z hepatologiem, może też zlecić dodatkowe badania w celu wykluczenia innych przyczyn zwiększenia aktywności enzymów wątrobowych.
- Dodatkowe leki: Po rozpoczęciu leczenia może być konieczne przyjmowanie innego leku (z grupy kortykosteroidów) przez 2 miesiące lub dłużej, stosowanego w leczeniu zwiększonej aktywności transaminaz lub zmniejszonej aktywności czynnika IX, która może zostać stwierdzona na podstawie wyników badań laboratoryjnych. Lekarz może dostosować dawkę tego leku w zależności od wyników badań krwi i reakcji pacjenta na leczenie.

Poziom czynnika IX

Lekarz będzie regularnie sprawdzał poziom czynnika IX u pacjenta, aby skontrolować, czy zastosowanie leku BEQVEZ było skuteczne. Jeśli u pacjenta zwiększy się aktywność enzymów wątrobowych lub konieczne będzie przyjmowanie innego leku (np. z grupy kortykosteroidów), potrzebne będą częstsze badania krwi w celu sprawdzenia aktywności czynnika IX do momentu powrotu aktywności enzymów wątrobowych do normy lub zaprzestania przyjmowania innego leku.

Przeciwciała neutralizujące przeciwko białkom czynnika IX (inhibitory czynnika IX)

Po podaniu leku BEQVEZ istnieje ryzyko wytworzenia się w organizmie przeciwciał neutralizujących przeciwko czynnikowi IX, które mogą uniemożliwić prawidłowe działanie czynnika IX. Jeśli nie można kontrolować epizodów krwawienia, lekarz może zlecić wykonanie badania krwi pod kątem obecności tych przeciwciał.

Ryzyko nowotworu złośliwego potencjalnie związanego ze stosowaniem leku BEQVEZ

Leczenie lekiem BEQVEZ spowoduje wnikanie nowego DNA do komórek wątroby. Chociaż nie ma dowodów z badań klinicznych dotyczących leku BEQVEZ, DNA to może teoretycznie integrować się z DNA komórek wątroby lub DNA innych komórek ciała. Może to zwiększać ryzyko rozwoju nowotworu złośliwego, na przykład raka wątroby (raka wątrobowokomórkowego). W związku z tym należy omówić tę kwestię z lekarzem.

Po zakończeniu stosowania leku BEQVEZ oczekuje się, że pacjent weźmie udział w badaniu obserwacyjnym, którego celem będzie ocena długoterminowego efektu leczenia, przez 15 lat, jego dalszej skuteczności oraz wszelkich działań niepożądanych, które mogą być związane z leczeniem. W przypadku rozpoznania nowotworu złośliwego lekarz może zlecić pobranie próbki nowotworu (biopsję) w celu sprawdzenia, czy lek BEQVEZ wniknął do DNA komórek.

Jeśli u pacjenta istnieją czynniki ryzyka raka wątrobowokomórkowego [np. zwłóknienie wątroby, zapalenie wątroby typu B, zapalenie wątroby typu C lub stłuszczenie wątroby (niealkoholowa stłuszczeniowa choroba wątroby)], lekarz będzie regularnie (na przykład co roku) monitorować długoterminowy stan wątroby przez co najmniej 5 lat po podaniu leku BEQVEZ i zlecać następujące badania:

- badanie ultrasonograficzne wątroby, raz na rok, i
- badanie krwi pod kątem zwiększenia stężenia alfa-fetoproteiny, raz na rok.

Ryzyko nieprawidłowych zakrzepów krwi

Czynnik IX jest białkiem niezbędnym do tworzenia stabilnych skrzepów we krwi. Po terapii lekiem BEQVEZ ilość białka czynnika IX powinna się zwiększyć. U niektórych pacjentów może ona się zwiększyć na pewien czas powyżej normy.

Nietypowo zwiększona aktywność czynnika IX może powodować nieprawidłowe krzepnięcie krwi, zwiększając ryzyko zakrzepów krwi, na przykład w płucach (choroba zakrzepowo-zatorowa płuc) lub w naczyniu krwionośnym kończyny dolnej (zakrzepica żylna lub tętnicza). Pacjent może być narażony na ryzyko nieprawidłowej krzepliwości krwi, jeśli miał problemy z sercem i naczyniami krwionośnymi [np. chorobę serca (chorobę sercowo-naczyniową), pogrubienie i stwardnienie tętnic (miażdżycę), wysokie ciśnienie krwi (nadciśnienie) lub jeśli ma cukrzycę lub jest w wieku powyżej 50 lat].

Należy niezwłocznie skonsultować się z lekarzem, jeśli pacjent zaobserwuje u siebie objawy nieprawidłowego krzepnięcia krwi, na przykład nagły ból w klatce piersiowej, duszność, nagłe osłabienie mięśni, utratę czucia i (lub) równowagi, obniżoną czujność, trudności w mówieniu albo opuchliznę jednej lub obu kończyn dolnych.

Pacjenci z obniżoną odpornością albo pacjenci zakażeni wirusem HIV lub z innym zakażeniem

Jeśli u pacjenta występuje obniżona odporność organizmu (osłabienie układu odpornościowego, powodującą zmniejszoną zdolność do zwalczania zakażeń), jest on lub będzie poddawany leczeniu osłabiającemu układ odpornościowy albo istnieje u niego zakażenie wirusem HIV lub inne nowe zakażenie (albo niedawno przebył zakażenie), lekarz zdecyduje, czy pacjent będzie mógł otrzymać lek BEQVEZ. Stosowanie leku BEQVEZ jest przeciwwskazane u pacjentów z aktywnymi zakażeniami, które mają charakter ostry (krótkoterminowy) lub przewlekły (długotrwały) i które nie są kontrolowane lekami (patrz punkt 2, „Kiedy nie stosować leku BEQVEZ”).

Stosowanie innych metod leczenia hemofilii

Po zastosowaniu leku BEQVEZ należy porozmawiać z lekarzem na temat tego, czy lub kiedy należy przerwać inne terapie hemofilii i opracować plan leczenia w przypadku operacji, urazu, krwawień lub zabiegów mogących zwiększać ryzyko krwawienia. Bardzo istotne jest kontynuowanie monitorowania i wizyt lekarskich w celu ustalenia, czy konieczne jest stosowanie innych metod leczenia hemofilii. W przypadku nawracających lub niekontrolowanych epizodów krwawień należy natychmiast skontaktować się z lekarzem.

Ponowne poddanie się terapii genowej w przyszłości

Po podaniu leku BEQVEZ układ odpornościowy pacjenta będzie wytwarzać przeciwciała przeciw zawartym w leku BEQVEZ białkom znajdującym się na otoczce wirusa związanego z adenowirusem (AAV). Nie wiadomo jeszcze, czy i pod jakimi warunkami można powtórzyć terapię lekiem BEQVEZ. Jeśli organizm pacjenta zostanie narażony na działanie tego leku po raz drugi, nie wiadomo, czy te

przeciwciała rozpoznają wirusa i uniemożliwiają działanie leku. Nie wiadomo także, czy i pod jakimi warunkami możliwe będzie późniejsze zastosowanie innej terapii genowej z użyciem AAV.

Powstrzymanie się od oddawania krwi i narządów do transplantacji

Substancja czynna leku BEQVEZ może być przejściowo wydalana z krwią, nasieniem lub wydaliniami ustrojowymi (patrz też punkt 2 „Stosowanie antykoncepcji”).

Aby zagwarantować, że osoby bez hemofilii B nie są narażone na kontakt z DNA zawartym w leku BEQVEZ, pacjent nie może oddawać krwi, nasienia ani narządów, tkanek i komórek do przeszczepień po terapii lekiem BEQVEZ.

Dzieci i młodzież

Leku BEQVEZ nie należy stosować u dzieci i młodzieży w wieku poniżej 18 lat, gdyż nie badano go jeszcze w tej populacji.

BEQVEZ a inne leki

Należy powiedzieć lekarzowi o wszystkich lekach i (lub) ziołowych suplementach diety stosowanych przez pacjenta obecnie lub ostatnio, a także o lekach, które pacjent planuje przyjmować, gdyż mogą one wpływać na prawidłowe działanie tego leku.

Niektóre leki, ziołowe suplementy diety lub alkohol oddziałują na wątrobę, co może wpływać na reakcję na ten lek i zwiększać ryzyko uszkodzenia wątroby. Należy poinformować lekarza o rozpoczęciu przyjmowania nowych leków po zakończeniu leczenia, ponieważ leki te mogą wpływać na wątrobę.

Po zastosowaniu leku BEQVEZ może być konieczne leczenie kortykosteroidami (patrz punkt 2, „Ostrzeżenia i środki ostrożności”). Ponieważ kortykosteroidy mogą wpływać na układ immunologiczny organizmu, skuteczność szczepionek może być osłabiona. Ważne jest, aby wszelkie wymagane szczepienia wykonać przed podaniem leku BEQVEZ. Lekarz może dostosować harmonogram szczepień, jak również zalecić nieprzyjmowanie niektórych szczepionek podczas leczenia kortykosteroidami. Na leczenie kortykosteroidami mogą mieć wpływ także inne leki. W razie pytań należy porozmawiać z lekarzem.

Ciąża, karmienie piersią i wpływ na płodność

Jeśli pacjentka jest w ciąży lub karmi piersią, przypuszcza, że może być w ciąży, lub gdy planuje mieć dziecko, powinna poradzić się lekarza przed otrzymaniem leku BEQVEZ.

- Stosowanie leku BEQVEZ nie jest zalecane u kobiet, które mogą zajść w ciążę lub są w ciąży. Nie wiadomo, czy lek BEQVEZ można bezpiecznie stosować u tych pacjentek, ponieważ jego wpływ na ciążę i nienarodzone dziecko jest nieznany.
- Stosowanie leku BEQVEZ nie jest zalecane u kobiet w ciąży. Nie wiadomo, czy może on zaszkodzić nienarodzonemu dziecku, jeśli zostanie podany pacjentce w ciąży.
- Leku BEQVEZ nie należy stosować u kobiet w okresie karmienia piersią. Nie wiadomo, czy przenika on do mleka ludzkiego. Nie można wykluczyć ryzyka dla noworodków/niemowląt.

Stosowanie antykoncepcji

Mężczyźni powinni stosować barierową metodę antykoncepcji przez 6 miesięcy po zakończeniu stosowania leku BEQVEZ, a ich partnerki powinny unikać kontaktu z nasieniem w tym okresie. Mężczyźni nie mogą także być dawcami nasienia po zakończeniu leczenia.

Ma to na celu zapobieżenie teoretycznemu ryzyku przeniesienia genu czynnika IX z ojca leczonego lekiem BEQVEZ na dziecko lub partnerkę seksualną pacjenta, z nieznanymi skutkami. Należy omówić z lekarzem odpowiednie metody antykoncepcji.

Prowadzenie pojazdów i obsługiwanie maszyn

U osób otrzymujących lek BEQVEZ wystąpiły działania niepożądane, na przykład przemijające bóle i zawroty głowy, mogące wpływać na zdolność do prowadzenia pojazdów i obsługiwania maszyn. Jeśli pojawią się takie objawy, należy zachować ostrożność do czasu uzyskania pewności, że nie wpływają one niekorzystnie na zdolność prowadzenia pojazdów i obsługiwania maszyn. W razie pytań należy porozmawiać z lekarzem.

Lek BEQVEZ zawiera sól

Ten lek zawiera mniej niż 1 mmol sodu (23 mg) na fiolkę, to znaczy lek uznaje się za „wolny od sodu”.

3. Jak stosować lek BEQVEZ

Leczenie będzie prowadzone w szpitalu lub ośrodku leczenia hemofilii przez lekarza mającego doświadczenie w terapii zaburzeń krzepnięcia krwi.

Lekarz określi dawkę leku w zależności od masy ciała pacjenta (5×10^{11} vg/kg). Terapia lekiem BEQVEZ polega na jednorazowym podaniu wlewu (kroplówki) do żyły. Wlew będzie podawany przez 1 godzinę. Infuzja może zostać spowolniona, jeśli u pacjenta wystąpią objawy reakcji na wlew (patrz punkt 2, „Ostrzeżenia i środki ostrożności”).

Dodatkowe leki, których stosowanie może być konieczne

Lekarz może przepisać inny lek (z grupy kortykosteroidów) w celu modulowania odpowiedzi immunologicznej organizmu na wirusa. Lek ten należy przyjmować zgodnie z zaleceniami lekarza. Przed wlewem lekarz może również zlecić podawanie czynnika IX.

Przerwanie leczenia egzogennym czynnikiem IX

Poprawa w zakresie kontroli krwawień po wlewie leku BEQVEZ może potrwać kilka tygodni.

Lekarz będzie monitorował aktywność czynnika IX we krwi pacjenta regularnie, to znaczy raz lub dwa razy w tygodniu przez pierwszych 12 tygodni, a następnie w regularnych odstępach czasu, i podejmie decyzję, czy i kiedy pacjent powinien otrzymać, zmniejszyć lub wstrzymać terapię egzogennym czynnikiem IX (patrz punkt 2, „Ostrzeżenia i środki ostrożności”).

W razie wątpliwości związanych ze stosowaniem leku BEQVEZ należy zwrócić się do lekarza.

Podanie większej niż zalecana dawki leku BEQVEZ

Podanie zbyt dużej ilości leku jest mało prawdopodobne, gdyż dawka jest podawana w szpitalu. Jeśli jednak pacjent otrzyma zbyt dużo leku BEQVEZ, lekarz może zlecić dodatkowe badania krwi i w razie potrzeby wdrożyć odpowiednie leczenie.

4. Możliwe działania niepożądane

Jak każdy lek, lek ten może powodować działania niepożądane, chociaż nie u każdego one wystąpią.

Bardzo często: mogą wystąpić częściej niż u 1 na 10 osób

- zwiększenie aktywności transaminaz (enzymów wątrobowych), stwierdzone w badaniach krwi

Często: mogą wystąpić nie częściej niż u 1 na 10 osób

- ból głowy
- ból w jamie brzusznej
- zawroty głowy
- nudności (mdłości)
- gorączka
- osłabienie (astenia)

- zwiększenie stężenia kreatyniny (rozpadowego produktu pochodzącego z mięśni), obserwowane w badaniach krwi
- zwiększenie stężenia dehydrogenazy mleczanowej (markera uszkodzenia tkanek), obserwowane w badaniach krwi.

Należy powiedzieć lekarzowi lub pielęgniarce, jeśli pojawią się jakieś inne działania niepożądane.

Zgłaszanie działań niepożądanych

Jeśli wystąpią jakiegokolwiek objawy niepożądane, w tym wszelkie objawy niepożądane niewymienione w tej ulotce, należy powiedzieć o tym lekarzowi lub farmaceucie. Działania niepożądane można zgłaszać bezpośrednio do Departamentu Monitorowania Niepożądanych Działań Produktów Leczniczych Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych

Al. Jerozolimskie 181C

PL-02 222 Warszawa

Tel.: + 48 22 49 21 301

Faks: + 48 22 49 21 309

Strona internetowa: <https://smz.ezdrowie.gov.pl>

Dzięki zgłaszaniu działań niepożądanych można będzie zgromadzić więcej informacji na temat bezpieczeństwa stosowania leku.

5. Jak przechowywać lek BEQVEZ

Poniższe informacje są przeznaczone dla osób należących do fachowego personelu medycznego, które będą przygotowywać i podawać ten lek.

Lek należy przechowywać w miejscu niewidocznym i niedostępnym dla dzieci.

Nie stosować tego leku po upływie terminu ważności zamieszczonego na etykiecie fiolki i pudełku po: EXP. Termin ważności oznacza ostatni dzień podanego miesiąca.

Lek BEQVEZ musi być przechowywany w pozycji pionowej i w oryginalnym opakowaniu, w celu ochrony przed światłem.

Przechowywać w temperaturze od -90°C do -60°C i transportować w temperaturze od -100°C do -60°C. Opakowania wyjęte z zamrażarki (od -90°C do -60°C) można przechowywać w temperaturze pokojowej (do 30°C) przez maksymalnie 5 minut w celu przeniesienia do innego środowiska o bardzo niskiej temperaturze.

Po rozmrożeniu nie zamrażać ponownie.

Rozmrożenie fiolek w opakowaniu wewnętrznym w temperaturze pokojowej (do 30°C) zajmie do 1 godziny. W temperaturze pokojowej całkowity czas od wyjęcia fiolek z zamrażarki do rozpoczęcia przygotowywania dawki nie powinien przekraczać 3 godzin.

Po rozmrożeniu produkt leczniczy nie powinien być zamrażany i może być przechowywany w lodówce w opakowaniu wewnętrznym w temperaturze od 2°C do 8°C przez 24 godziny. Okres ważności po rozcieńczeniu wynosi 24 godziny.

6. Zawartość opakowania i inne informacje

Co zawiera lek BEQVEZ

- Substancją czynną jest fidanakogen elapawowek. Każda fiolka zawiera w przybliżeniu $0,79 - 1,21 \times 10^{13}$ genomów wektora/ml.
- Pozostałe składniki to: sodu diwodofosforan jednowodny (E339), disodu wodorofosforan siedmiowodny (E339), sodu chlorek, poloksamer 188 i woda do wstrzykiwań (patrz punkt 2, „Lek BEQVEZ zawiera sól”).

Lek ten zawiera organizmy zmodyfikowane genetycznie.

Jak wygląda lek BEQVEZ i co zawiera opakowanie

Lek BEQVEZ jest koncentratem do sporządzania roztworu do infuzji (koncentratem jałowym).

Lek BEQVEZ jest dostarczany w plastikowej fiolce o pojemności 2 ml i pobieralnej objętości 1 ml.

Po rozmrożeniu lek BEQVEZ jest roztworem przezroczystym do lekko opalizującego, bezbarwny do lekko brązowego.

Lek BEQVEZ jest dostarczany w pudełku tekturowym zawierającym liczbę fiolek wymaganą do podania pacjentowi jednej dawki.

Podmiot odpowiedzialny

Pfizer Europe MA EEIG
Boulevard de la Plaine 17
1050 Bruxelles
Belgia

Wytwórca

Wyeth Farma S.A.
Autovia del Norte A-1 Km. 23. Desvio Algete Km. 1
28700 San Sebastian de los Reyes
Madrid
Hiszpania

W celu uzyskania bardziej szczegółowych informacji dotyczących tego leku należy zwrócić się do miejscowego przedstawiciela podmiotu odpowiedzialnego:

Belgique/België/Belgien
Luxembourg/Luxemburg
Pfizer NV/SA
Tél/Tel: +32 (0)2 554 62 11

Lietuva
Pfizer Luxembourg SARL filialas Lietuvoje
Tel: + 370 52 51 4000

България
Пфайзер Люксембург САРЛ, Клон България
Тел.: +359 2 970 4333

Magyarország
Pfizer Kft.
Tel: +36-1-488-37-00

Česká republika
Pfizer, spol. s r.o.
Tel: +420 283 004 111

Malta
Vivian Corporation Ltd.
Tel: +356 21344610

Danmark
Pfizer ApS
Tlf.: +45 44 20 11 00

Nederland
Pfizer bv
Tel: +31 (0)800 63 34 636

Deutschland
Pfizer Pharma GmbH
Tel: +49 (0)30 550055 51000

Norge
Pfizer AS
Tlf: +47 67 52 61 00

Eesti

Österreich

Pfizer Luxembourg SARL Eesti filiaal
Tel: +372 666 7500

Ελλάδα

Pfizer Ελλάς A.E.
Τηλ: +30 210 6785 800

España

Pfizer, S.L.
Tel: +34 91 490 99 00

France

Pfizer
Tel: +33 (0)1 58 07 34 40

Hrvatska

Pfizer Croatia d.o.o.
Tel: + 385 1 3908 777

Ireland

Pfizer Healthcare Ireland
Tel: 1800 633 363 (toll free)
+44 (0)1304 616161

Ísland

Icepharma hf.
Sími: +354 540 8000

Italia

Pfizer S.r.l.
Tel: +39 06 33 18 21

Κύπρος

Pfizer Ελλάς A.E. (Cyprus Branch)
Τηλ: +357 22 817690

Pfizer Corporation Austria Ges.m.b.H.
Tel: +43 (0)1 521 15-0

Polska

Pfizer Polska Sp. z o.o.
Tel: +48 22 335 61 00

Portugal

Laboratórios Pfizer, Lda.
Tel: +351 21 423 5500

România

Pfizer Romania S.R.L.
Tel: +40 (0) 21 207 28 00

Slovenija

Pfizer Luxembourg SARL
Pfizer, podružnica za svetovanje s področja
farmacevtske dejavnosti, Ljubljana
Tel: + 386 (0)1 52 11 400

Slovenská republika

Pfizer Luxembourg SARL, organizačná zložka
Tel: + 421 2 3355 5500

Suomi/Finland

Pfizer Oy
Puh/Tel: +358 (0)9 43 00 40

Sverige

Pfizer AB
Tel: +46 (0)8 550-520 00

United Kingdom (Northern Ireland)

Pfizer Limited
Tel: +44 (0) 1304 616161

Data ostatniej aktualizacji ulotki: 08/2024

Ten lek został warunkowo dopuszczony do obrotu. Oznacza to, że oczekuje się na więcej danych dotyczących leku.

Europejska Agencja Leków dokona co najmniej raz w roku przeglądu nowych informacji o leku i w razie konieczności treść tej ulotki zostanie zaktualizowana.

Inne źródła informacji

Szczegółowe informacje o tym leku znajdują się na stronie internetowej Europejskiej Agencji Leków <https://www.ema.europa.eu>.

Ta ulotka jest dostępna we wszystkich językach UE/EOG na stronie internetowej Europejskiej Agencji Leków.

Informacje przeznaczone wyłącznie dla fachowego personelu medycznego:

Ważne: Przed użyciem należy zapoznać się z Charakterystyką Produktu Leczniczego (ChPL).

Środki ostrożności, które należy podjąć przed użyciem lub podaniem produktu leczniczego

Produkt leczniczy BEQVEZ musi być transportowany w obrębie placówki w zamkniętym, odpornym na uszkodzenia i szczelnym pojemniku.

Ten produkt leczniczy zawiera organizmy zmodyfikowane genetycznie.

Przy obchodzeniu się z produktem leczniczym BEQVEZ należy stosować techniki aseptyczne w warunkach sterylnych.

Przy obchodzeniu się z produktem leczniczym BEQVEZ lub jego podawaniu należy nosić środki ochrony osobistej (w tym rękawice, gogle ochronne, fartuch laboratoryjny i rękawy).

Rozmrażanie

- Przechowywać w oryginalnym opakowaniu, aby uniknąć ekspozycji na bezpośrednie światło słoneczne i na promieniowanie ultrafioletowe.
- Produkt leczniczy BEQVEZ należy przechowywać w pozycji pionowej w oryginalnym opakowaniu.
- Wyjąć pudełko wewnętrzne z opakowania zewnętrznego.
- Rozmrażać fiołki z produktem leczniczym BEQVEZ w pozycji pionowej w pudełku wewnętrznym przez 1 godzinę w temperaturze pokojowej (od 15°C do 30°C).
- Fiołki można delikatnie obracać, ale nie należy nimi wstrząsać ani ich odwracać.
- W temperaturze pokojowej całkowity czas od wyjęcia fiolek z zamrażarki do rozpoczęcia przygotowywania dawki nie powinien przekraczać 3 godzin.
- Przed użyciem sprawdzić wzrokowo fiołki pod kątem obecności cząstek stałych i przebarwień. Upewnić się, że w roztworze nie ma widocznych kryształków lodu. Nie używać fiolek zawierających widoczne cząstki stałe. Rozmrożony roztwór w fiołce powinien być przezroczysty do lekko opalizującego, bezbarwny do lekko brązowego.
- Fiolek nie należy ponownie zamrażać.

Przygotowanie przed podaniem

Ten produkt leczniczy przygotowuje się do infuzji dożyłnej poprzez rozcieńczenie w 0,9% (9 mg/ml) roztworze chlorku sodu do wstrzykiwań z dodatkiem 0,25% albuminy surowicy ludzkiej (HSA).

Przygotowywanie roztworu rozcieńczającego [0,9% (9 mg/ml) roztworu chlorku sodu do wstrzykiwań z dodatkiem 0,25% HSA]

- HSA stosowany do przygotowania tego produktu leczniczego musi być dostępny w sprzedaży. Zalecany jest roztwór HSA o stężeniu wagowo-objętościowym 20% lub 25%.
- Obliczyć objętość HSA wymaganą do uzyskania końcowego stężenia wagowo-objętościowego 0,25% HSA w końcowej objętości infuzji wynoszącej 200 ml.
- Obliczyć objętość produktu leczniczego wymaganą do leczenia danego pacjenta.
 - Informacje dotyczące stężenia genomów wektora na fiołkę oraz etapów obliczania produktu leczniczego znajdują się w dołączonym arkuszu informacyjnym dla serii (LIS).

- Uwaga: Stężenie genomów wektora w arkuszu LIS jest rzeczywistym stężeniem w każdej fiołce, które powinno być stosowane do obliczania dawki.
- Obliczyć objętość 0,9% (9 mg/ml) roztworu chlorku sodu do wstrzykiwań potrzebną do uzyskania końcowej objętości infuzji wynoszącej 200 ml razem z produktem leczniczym i HSA.
- Połączyć obliczoną objętość HSA z obliczoną objętością 0,9% (9 mg/ml) roztworu chlorku sodu do wstrzykiwań w odpowiednim pojemniku do infuzji dożylniej.
- Delikatnie wymieszać roztwór rozcieńczalnika. Nie wstrząsać. Przed dodaniem produktu BEQVEZ inkubować roztwór rozcieńczalnika w pojemniku infuzyjnym w temperaturze pokojowej (od 15 do 30°C) przez co najmniej 10 minut.

Przygotowanie roztworu do infuzji

- Przed podaniem rozmrożony produkt sprawdzić wzrokowo pod kątem obecności cząstek stałych. Nie używać fiolek zawierających widoczne cząstki stałe.
- Każda fiołka jest przeznaczona wyłącznie do jednorazowego użytku.
- Pobrać obliczoną objętość produktu BEQVEZ z fiolek przy użyciu techniki aseptycznej i sterylnych narzędzi.
- Połączyć pobraną objętość produktu BEQVEZ z roztworem rozcieńczającym (0,9% chlorku sodu z dodatkiem 0,25% HSA), uzyskując całkowitą objętość infuzji wynoszącą 200 ml.
- Delikatnie wymieszać roztwór do infuzji. Nie wstrząsać.
- Przed podaniem pacjentowi roztwór do infuzji doprowadzić do temperatury otoczenia.

Podawanie roztworu do infuzji

- Podanie dożylnie.
- Nie podawać w postaci szybkiego wlewu dożylnego ani bolusa.
- Do podawania można w linii infuzyjnej użyć filtra o wielkości porów 0,2 µm.
- Roztwór do infuzji należy podawać pacjentowi przez około 60 minut.
- W przypadku reakcji na infuzję podczas podawania należy zmniejszyć szybkość infuzji lub ją zatrzymać (patrz punkt 4.4 Charakterystyki Produktu Leczniczego).

Środki podejmowane w razie przypadkowego narażenia

Unikać przypadkowego narażenia na produkt leczniczy BEQVEZ. W przypadku kontaktu ze skórą dotknięty obszar dokładnie umyć wodą z mydłem, zgodnie z lokalnymi procedurami. W przypadku kontaktu z oczami dotknięty obszar dokładnie przemywać wodą przez co najmniej 15 minut.

Środki ostrożności dotyczące usuwania produktu leczniczego

Niewykorzystany produkt leczniczy oraz materiały jednorazowego użytku, które mogły mieć kontakt z produktem leczniczym BEQVEZ (na przykład fiołki, wszystkie materiały używane do wstrzyknięcia, w tym igły i cały nieużyty produkt), należy oddać do utylizacji, zgodnie z lokalnymi wytycznymi dotyczącymi odpadów farmaceutycznych.

Wszelkie wycieki produktu leczniczego BEQVEZ wytrzeć chłonną gazą, po czym obszar wycieku zdezynfekować roztworem wybielacza, a następnie ściereczkami nasączonymi alkoholem. Wszystkie

materiały użyte do czyszczenia muszą zostać zapakowane w podwójne worki i oddane do utylizacji, zgodnie z lokalnymi wytycznymi dotyczącymi postępowania z odpadami farmaceutycznymi.