INFORMACIÓN DE SEGURIDAD PARA PROFESIONALES SANITARIOS

▼LIBMELDY® 2 - 10 x 10^6 células/ml dispersión para perfusión

(atidarsagen autotemcel)

Lea detenidamente esta guía junto con la Ficha técnica del medicamento disponible en el Centro de información online de medicamentos de la AEMPS (CIMA): www.cima.aemps.es.

Esta guía incluye información importante sobre la prevención o minimización de los principales riesgos asociados al tratamiento con Libmeldy.

▼Este medicamento está sujeto a seguimiento adicional, es prioritaria la notificación de sospechas de reacciones adversas asociadas a este medicamento.

Información sobre prevención de riesgos acordada con la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) Julio-2026

Disponible en la web de la AEMPS www.aemps.gob.es

Acerca de este medicamento

Libmeldy (atidarsagén autotemcel) es una terapia constituida por una población enriquecida con células $CD34^+$ autólogas modificadas genéticamente que contiene células madre hematopoyéticas [CMH] transducidas *ex vivo* utilizando un vector lentivírico que expresa el gen de la arilsulfatasa A humana (ARSA).

Tiene exclusivamente uso autólogo y no debe administrarse bajo ninguna circunstancia a otros pacientes.

Sólo se debe administrar a pacientes con leucodistrofia metacromática, y no en otro tipo de leucodistrofias.

Se debe administrar en un centro de tratamiento cualificado por un médico con experiencia en el trasplante de células madre hematopoyéticas (CMH) y que haya recibido formación para la administración y el control de pacientes tratados con el medicamento.

Riesgo de oncogénesis insercional

Durante el desarrollo clínico de atidarsagén autotemcel, no se describieron casos de leucemia o linfoma. No obstante, debido a las características del medicamento, existe un riesgo potencial de neoplasia maligna debida a mutagénesis tras su administración.

Por lo tanto, es importante vigilar a los pacientes tratados para detectar signos y síntomas susceptibles de transformación oncogénica, tales como casos de leucemia o linfoma.

Monitorización

Se llevará a cabo un seguimiento de los pacientes para detectar signos o síntomas sugestivos de neoplasias.

Indique a sus pacientes y sus cuidadores que estén atentos a los siguientes síntomas: disnea, palidez, fiebre, sudores nocturnos, ganglios linfáticos hinchados, sangrado fácil/aparición de petequias, infecciones frecuentes, fatiga y que deben ponerse en contacto con su médico en caso de que aparezcan.

Realice recuentos de células sanguíneas periódicamente para detectar leucemia o linfoma.

Tratamiento

En caso de que se detecte leucemia o linfoma en cualquier paciente que haya recibido Libmeldy, se deben recoger muestras de sangre para analizar el lugar de integración.

Retraso del prendimiento de plaquetas

Se han notificado casos de prendimiento plaquetario tardío en pacientes tratados con Libmeldy, sin correlación con un aumento de la incidencia de sangrado.

Monitorización

Los recuentos de plaquetas se deben someter a seguimiento según el criterio médico hasta que se logre el prendimiento de estas células y la recuperación.

Tratamiento

Tras el acondicionamiento mieloablativo y el tratamiento con Libmeldy, se debe administrar una transfusión de apoyo con plaquetas según el criterio médico y la práctica institucional.

Anticuerpos anti-ARSA

El desarrollo de anticuerpos anti-ARSA (AAA) es un riesgo potencial tras el tratamiento con Libmeldy. Por lo tanto, se recomienda monitorizar los AAA antes del tratamiento y después del tratamiento, tal como se describe a continuación (ver también la sección 4.4 de la FT para obtener más información).

Monitorización

Se recomienda realizar un seguimiento de los AAA en los siguientes puntos temporales:

- Antes del tratamiento
- Después del tratamiento:

Seguimiento de los AAA después del tratamiento								
1-2 meses	6 meses	1 año	3 años	5 años	7 años	9 años	12 años	15 años

En caso de aparición de una enfermedad o de una progresión significativa de la misma, se recomienda realizar un seguimiento adicional de los AAA.

Tratamiento

Si se confirma la presencia de AAA (es decir, tras la repetición de la prueba), se puede considerar un tratamiento corto con rituximab, a criterio del médico responsable del tratamiento, teniendo en cuenta los títulos de AAA identificados, las manifestaciones clínicas de la enfermedad (síntomas neurológicos, hitos tardíos) u otras manifestaciones autoinmunitarias para las que existe una indicación de un tratamiento de agotamiento de linfocitos B.

Los pacientes en los que se eliminan los AAA después de un ciclo de rituximab se seguirán monitorizando periódicamente durante al menos un año para detectar la presencia de anticuerpos.

Fallo del injerto

Existe un posible riesgo de fallo de injerto de médula ósea, según la medición del recuento de neutrófilos en la sangre periférica, si bien en los ensayos clínicos no se produjo ningún caso.

El fallo del injerto de neutrófilos es un riesgo a corto plazo, pero potencialmente importante, definido como la imposibilidad de alcanzar un recuento absoluto de neutrófilos (RAN) >500 células/µl asociado a la falta de evidencias de recuperación de la médula ósea (es decir, médula hipocelular) al día 60 después de la perfusión de Libmeldy. En caso de fallo del injerto, las células madre de reserva no transductoras se deben perfundir según la normativa local.

Adicionalmente, los pacientes pueden manifestar citopenias graves, durante varias semanas después del acondicionamiento mieloablativo y la perfusión de Libmeldy.

En los estudios clínicos, la mediana del número de días con aplasia absoluta fue de 6 (rango de 2 a 29 días) y la mediana del número de días desde el tratamiento con Libmeldy hasta el injerto de neutrófilos fue de 38 (rango de 18 a 50 días).

Por lo tanto, se debe realizar un seguimiento de los pacientes para detectar signos y síntomas de citopenia durante al menos 7 semanas después de la perfusión.

Monitorización

Los recuentos de glóbulos rojos se realizarán de acuerdo con el criterio médico hasta que se logre el injerto de estas células y la recuperación.

La transfusión de apoyo de glóbulos rojos y plaquetas se debe administrar de acuerdo con el criterio médico y la práctica del centro. Se debe considerar la determinación del contenido en células sanguíneas y otras pruebas lo antes posible siempre que surjan síntomas clínicos que sugieran la existencia de anemia.

Tratamiento

En caso de fallo del injerto, si la citopenia persiste más de 7 u 8 semanas, a pesar del uso de agentes movilizadores de granulocitos, se deben perfundir las células madre de reserva no perfundidas.

Si la citopenia persiste a pesar de la perfusión de células madre de reserva no transducidas, se deben considerar tratamientos alternativos.

Fase de progresión rápida de la enfermedad

El tratamiento con Libmeldy se debe realizar antes de que la enfermedad entre en su fase de progresión rápida.

La posibilidad de administrar Libmeldy se debe evaluar inicialmente por el médico tratante a través de un examen neurológico completo, una evaluación de la función motora y una evaluación neurocognitiva, según sea apropiado para la edad del paciente.
Antes de comenzar la extracción de células, y antes de comenzar el acondicionamiento, el médico tratante se debe asegurar de que la administración de la terapia génica autógena con CMH sigue siendo clínicamente adecuada para el paciente, y que el tratamiento con Libmeldy sigue estando indicado.

Estudio a largo plazo

Se encuentra en marcha un estudio a largo plazo (Long-TERM MLD) con el fin de conocer la seguridad y la eficacia a largo plazo de Libmeldy (15 años de seguimiento).

Informe a sus pacientes sobre la posibilidad de incluirse en este estudio.

Puntos importantes a comentar con los pacientes y sus cuidadores

Asegúrese de que los pacientes y sus cuidadores comprenden:

- Los posibles riesgos asociados al tratamiento con Libmeldy
- Los signos y síntomas sugestivos de leucemia o linfoma, y la necesidad de ponerse en contacto con su médico inmediatamente si éstos aparecen
- El contenido de la guía del paciente y cuidador y la tarjeta de información para el paciente
- La necesidad de llevar la tarjeta de información para el paciente y de mostrársela a cualquier profesional sanitario que le preste atención médica
- La importancia de las revisiones continuas y del seguimiento a largo plazo

Notificación de sospechas de reacciones adversas

Se recuerda la importancia de notificar las sospechas de reacciones adversas a través del Centro Autonómico de Farmacovigilancia correspondiente o del formulario electrónico disponible en https://www.notificaRAM.es.

Adicionalmente puede notificarlas a Orchard Therapeutics por correo electrónico a drugsafety@orchard-tx.com.

Es importante que, al notificar cualquier sospecha de reacción adversa, proporcione el número de lote del medicamento que se encuentra en la hoja de información del lote así como en la tarjeta de información para el del paciente.