

Guía del paciente/ cuidador

▼ HEMGENIX (etranacogén dezaparvovec)

Lea estos materiales conjuntamente con el prospecto del producto disponible en <https://cima.aemps.es>

Además de esta guía del paciente/cuidador, su médico le entregará una tarjeta del paciente. Léala atentamente y siga las instrucciones que contiene

Información sobre prevención de riesgos acordada con la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS). Octubre-2024.

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

▼ Este medicamento está sujeto a seguimiento adicional, es importante comunicar los efectos adversos que pudiera usted tener. Puede consultar la forma de hacerlo en el prospecto del medicamento.

1. ¿Qué necesita saber antes de empezar el tratamiento?

Es necesario que entienda los beneficios y riesgos del tratamiento, así como lo que se sabe y lo que aún no se sabe sobre los efectos a largo plazo del mismo, tanto en lo relacionado con la seguridad como con la eficacia.

a. Salud hepática

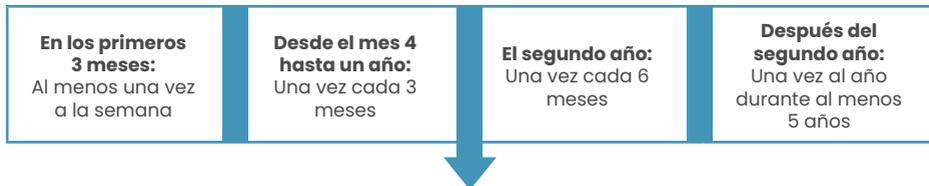
ANTES DEL TRATAMIENTO

A la hora de decidir si este tratamiento es adecuado para usted, su médico comprobará su salud hepática realizando las pruebas que considere oportunas en cada caso

DESPUÉS DEL TRATAMIENTO

Su médico seguirá supervisando su estado de salud. Es **importante** que **comente con su médico el calendario de estos análisis de sangre** para que se puedan llevar a cabo cuando sea necesario

Este fármaco desencadenará una respuesta inmunitaria que podría producir un aumento del nivel de ciertas enzimas hepáticas (transaminasas) en la sangre. **Su médico controlará periódicamente sus niveles de enzimas hepáticas** para asegurarse de que el tratamiento funciona como debe:



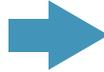
- Si experimenta un aumento de las enzimas hepáticas, es posible que deba realizar análisis de sangre con más frecuencia.
- Puede que necesite tratamiento con otro medicamento (p. ej., corticosteroides) para superar el daño hepático que este fármaco pueda producir.
- Debe informar a todo profesional sanitario sobre su tratamiento con corticosteroides u otros inmunosupresores. Si no puede tomar corticosteroides, el médico puede recomendarle medicamentos alternativos para tratar los problemas hepáticos.

Informe a su médico/enfermero/farmacéutico de cualquier medicación que esté tomando, incluso aquella que no requiera de receta médica.

b. Coagulación anormal de la sangre (acontecimientos tromboembólicos)

Esté atento a los signos/síntomas de coagulación anormal:

Dolor repentino en el pecho, falta de aliento, aparición repentina de debilidad muscular, pérdida de sensibilidad y/o equilibrio, disminución del estado de alerta, dificultad para hablar o hinchazón de una o ambas piernas.



Si observa signos/síntomas de coagulación anormal

Consulte inmediatamente a su médico

c. Riesgo de neoplasia maligna

Este medicamento tiene un componente vírico que se insertará en las células hepáticas y podría insertarse en el ADN de las células hepáticas o en el ADN de otras células del cuerpo. Por consiguiente, podría aumentar el riesgo de cáncer. Debe hablar de este riesgo con su médico.

- Si es un paciente con factores de riesgo preexistentes de cáncer de hígado, su médico **controlará periódicamente su salud hepática durante al menos 5 años tras la última administración.**

Algunos factores de riesgo del carcinoma hepatocelular son:

- Fibrosis hepática (cicatrización y engrosamiento del hígado)
- Antecedentes de hepatitis B o hepatitis C
- Hígado graso (enfermedad del hígado graso no alcohólico; EHGNA)
- Consumo excesivo de alcohol

d. Transmisión

Este fármaco puede excretarse temporalmente a través de la sangre, el semen, la leche materna o los desechos corporales.

No debe donar sangre, semen u órganos, tejidos ni células para trasplantes después del tratamiento con HEMGENIX.

Después de que un paciente varón haya sido tratado, el paciente o su pareja femenina **deben evitar un embarazo durante los 12 meses siguientes al tratamiento.** Debe utilizar **métodos anticonceptivos eficaces** (p. ej., anticonceptivos de doble barrera como el preservativo o el diafragma). **Consulte con su médico qué métodos anticonceptivos son adecuados.**

HEMGENIX está contraindicado en mujeres embarazadas y no está recomendado en mujeres que puedan quedarse embarazadas.

e. Desarrollo de inhibidores del FIX

Los anticuerpos neutralizantes contra las proteínas del factor IX, denominados inhibidores del factor IX, pueden impedir que HEMGENIX funcione correctamente.

Su médico puede analizar su sangre para comprobar la presencia de estos inhibidores del FIX si las hemorragias no se controlan o vuelven a producirse después de haberle administrado HEMGENIX.

f. Inmunidad preexistente contra el vector

Algunas personas pueden presentar anticuerpos frente a los vectores de virus adenoasociados (AAV) que se utilizan en la terapia génica lo que **podría reducir la eficacia de HEMGENIX. Su médico realizará los análisis necesarios para comprobar el nivel de dichos anticuerpos y actuar en consecuencia.**

g. Respuesta al tratamiento

Existe la posibilidad de que no todos los pacientes se beneficien del tratamiento pero sí seguirán expuestos a los riesgos asociados al fármaco a largo plazo.

2. Seguimiento a largo plazo

Aún se desconoce la eficacia y la seguridad a largo plazo de HEMGENIX.

Al finalizar su tratamiento, se le **incluira en un estudio de seguimiento para estudiar la seguridad a largo plazo (15 años), su eficacia y cualquier efecto adverso que pueda estar relacionado con el tratamiento.**

3. Tarjeta de información para el paciente

La tarjeta del paciente contiene información importante sobre seguridad. Lleve esta tarjeta consigo en todo momento y muéstrasela a todo profesional sanitario con el que tenga contacto.

Tal como se explica en esta guía, se deben seguir ciertas recomendaciones para utilizar HEMGENIX de forma segura, por lo que es esencial que comparta esta información con todos los profesionales sanitarios a los que necesite consultar. Esta es la función de la tarjeta del paciente.

Su médico debe entregarle una tarjeta del paciente el día de la administración.

Si experimenta cualquier tipo de efecto adverso, consulte a su médico o farmacéutico, incluso si se trata de posibles efectos adversos que no aparecen en el prospecto. También puede comunicarlos directamente a través del Sistema Español de Farmacovigilancia de medicamentos de Uso Humano: <https://www.notificaRAM.es>.