

Guide destiné aux patients et aidants

Informations importantes à propos de CASGEVY® ▼ (exagamglogène autotemcel)

Document diffusé sous l'autorité de l'ANSM

Il est important de discuter avec votre médecin des bénéfices et des risques du traitement par CASGEVY® avant toute décision de commencer le traitement. Il est important de savoir que les informations sur les effets à long terme sont limitées.

CASGEVY® est fabriqué spécifiquement pour vous à partir de vos propres cellules souches sanguines. Les cellules souches sanguines sont des cellules qui peuvent se transformer en d'autres types de cellules sanguines, globules rouges, globules blancs et plaquettes. Ces cellules sont prélevées à partir de votre sang, puis sont génétiquement modifiées et vous sont ensuite réinjectées à l'hôpital sous forme de greffe.

Ce guide présente des informations sur trois effets indésirables importants susceptibles de survenir suite au traitement par CASGEVY®.

Après le traitement par CASGEVY® :

- votre organisme peut mettre longtemps à produire à nouveau des plaquettes en quantité suffisante, ce qui peut augmenter le risque de saignement (ce qui est appelé retard de prise de greffe des plaquettes). Les plaquettes sont les cellules sanguines qui adhèrent les unes aux autres pour arrêter les saignements.
- les neutrophiles peuvent ne pas se développer dans votre organisme (ce qui est appelé échec de prise de greffe des neutrophiles). Les neutrophiles sont un type de globules blancs qui protègent l'organisme des infections. Le risque d'infections est augmenté si les globules blancs ne se développent pas.
- votre organisme peut théoriquement développer un cancer du sang.

Ce guide ne contient pas toutes les informations à propos de CASGEVY®. Pour plus d'informations, veuillez lire la notice et vous adresser à votre médecin.

- ▼ Ce médicament fait l'objet d'une surveillance supplémentaire qui permettra l'identification rapide de nouvelles informations relatives à la sécurité.

*Si vous ressentez un quelconque effet indésirable, parlez-en à votre médecin, pharmacien ou infirmier/ère.
Vous pouvez également déclarer les effets indésirables directement via le portail de signalement des événements sanitaires indésirables du ministère chargé de la santé <https://signalement.social-sante.gouv.fr>*



1. Glossaire

Cellules souches	Type spécial de cellules qui peuvent se transformer en de nombreux types de cellules différents, par exemple en globules rouges nécessaires à la constitution et au fonctionnement de l'organisme
Cellules souches hématopoïétiques	Type de cellules souches présentes dans la moelle osseuse qui peuvent se développer en globules rouges, en plaquettes ou en globules blancs
Plaquettes	Cellules sanguines qui adhèrent les unes aux autres pour arrêter les saignements
Globules blancs	Cellules sanguines qui font partie du système immunitaire. Elles sont importantes pour protéger l'organisme des infections
Neutrophiles	Un type de globules blancs
Globules rouges	Cellules sanguines qui transportent l'oxygène dans tout l'organisme

2. Effets indésirables importants

Après le traitement par CASGEVY®, vous aurez des taux plus faibles de cellules sanguines jusqu'à ce que les cellules contenues dans CASGEVY® se développent dans votre moelle osseuse et permettent la production de nouvelles cellules sanguines. Cela signifie qu'initialement, vous présenterez un risque accru de saignement (en raison du taux faible de plaquettes) ou d'infection (en raison du taux faible de neutrophiles) jusqu'à ce que les cellules contenues dans CASGEVY® se développent et produisent ces nouvelles cellules.

Pendant votre hospitalisation, votre médecin surveillera vos taux de cellules sanguines, notamment vos taux de plaquettes et de neutrophiles (globules blancs), à l'aide d'analyses de sang effectuées à intervalles réguliers. Vous resterez à l'hôpital jusqu'à ce que votre taux de neutrophiles soit revenu à une valeur permettant à votre organisme de combattre les infections.

Après le traitement par CASGEVY®, informez immédiatement votre médecin si vous présentez des symptômes d'infection, même des symptômes qui ne sont pas mentionnés ci-dessous :

- Fièvre
- Frissons
- Autres signes d'infection tels que :
 - ◆ mal de gorge
 - ◆ toux ou essoufflement
 - ◆ douleur ou sensation de brûlure en urinant ou besoin fréquent d'uriner
 - ◆ diarrhée

Il existe une possibilité qu'après le traitement par CASGEVY®, le taux de globules blancs dans votre organisme reste faible, si la greffe de vos cellules souches modifiées, échoue. Dans ce cas, il pourra être nécessaire de restituer à votre organisme vos propres cellules souches non modifiées (cellules de secours) ayant été prélevées et conservées avant que vous receviez CASGEVY®. Si c'est le cas, vous ne tirerez aucun bénéfice du traitement par CASGEVY®, mais vous serez malgré tout exposé(e) aux risques possibles à long terme.

Dans les essais cliniques, la prise de greffe des neutrophiles a été obtenue chez tous les patients et aucun patient n'a reçu les cellules de secours.

Votre médecin vous dira quand vos taux de plaquettes et de neutrophiles seront revenus à des valeurs sûres.

Lors de votre sortie de l'hôpital, il sera possible que votre taux de plaquettes ne soit toujours pas revenu dans les valeurs normales. Le délai nécessaire après le traitement par CASGEVY® pour que l'organisme produise des plaquettes en quantité suffisante pourra être long. Après votre sortie de l'hôpital, votre médecin continuera à surveiller votre taux de plaquettes à l'aide d'analyses de sang. Vous présenterez un risque de saignements jusqu'à ce que votre taux de plaquettes soit revenu à une valeur normale. Il est très important que vous soyez vigilant(e) à tout symptôme qui pourrait être causé par des saignements.

Veillez également à effectuer toutes les analyses de sang demandées par votre médecin.

Après le traitement par CASGEVY®, informez immédiatement votre médecin si vous présentez des symptômes de saignement, même des symptômes qui ne sont pas mentionnés ci-dessous :

- Ecchymoses inhabituelles
- Saignement prolongé
- Maux de tête intenses
- Saignement en l'absence de blessure tels que :
 - ◆ saignements de nez
 - ◆ saignement des gencives
 - ◆ présence de sang dans les urines, les selles ou les vomissures
 - ◆ présence de sang dans les expectorations

Il existe une possibilité théorique de développement de cancers du sang après toute thérapie génique telle que CASGEVY®. Il n'a pas été rapporté de cas de cancers du sang chez les patients traités par CASGEVY® dans les études cliniques. Votre médecin demandera un bilan de contrôle une fois par an.

En cas de certains cancers du sang, votre médecin devra prélever un échantillon pour analyse plus approfondie du lien éventuel avec CASGEVY®.

Informez votre médecin si vous présentez l'un des signes suivants évocateurs de cancer du sang :

- Fatigue
- Fièvre inexplicable
- Sueurs nocturnes
- Perte de poids inexplicable
- Infections fréquentes
- Essoufflement
- Gonflement des ganglions lymphatiques

■ 3. Carte patient

La carte patient sert à rappeler les risques de CASGEVY® décrits à la section 2 ci-dessus. Elle sert également à informer le médecin ou infirmier/ère lors de tout rendez-vous avec ces professionnels de santé que vous avez été traité(e) par CASGEVY®. Portez cette carte sur vous en permanence et montrez-la au médecin ou à l'infirmier/ère lors de chaque rendez-vous. Les informations présentées sur cette carte pourront aider le médecin ou l'infirmier/ère à prendre des décisions à propos de votre prise en charge médicale.

■ 4. Étude à long terme de CASGEVY®

Les informations concernant les effets de CASGEVY® à long terme sont limitées. Une étude a donc été organisée afin de permettre de suivre les patients qui ont reçu CASGEVY® pendant 15 ans. Il est important de participer à cette étude afin de contribuer à faire progresser les connaissances sur les effets à long terme de CASGEVY®.

Si vous participez à cette étude, aucun examen ou traitement ni aucune consultation supplémentaire **ne sera** requis(e). Si vous décidez de ne pas y participer, **votre choix n'aura pas de conséquences sur les soins que vous recevez** et votre médecin continuera à vous prendre en charge de façon optimale et à vous suivre pendant 15 ans. Pour plus d'informations à propos de l'étude, veuillez-vous adresser au médecin qui vous a prescrit le traitement par CASGEVY®.

