Manuel de pharmacie pour

Upstaza™ (éladocagène exuparvovec)

Manuel pour la préparation d'Upstaza™
Informations destinées aux pharmaciens

REMARQUE IMPORTANTE
Veuillez lire attentivement ce document ainsi que le résumé des caractéristiques du produit (RCP) et la notice avant de délivrer ou de préparer Upstaza™ (éladocagène exuparvovec).

Ce manuel fournit au personnel de la pharmacie les instructions nécessaires pour préparer la dose d'Upstaza™ (éladocagène exuparvovec) à administrer.

Si vous avez des questions concernant la préparation d'Upstaza™ (éladocagène exuparvovec), veuillez contacter PTC Therapeutics France S.A.S.

Upstaza™ (éladocagène exuparvovec) est indiqué dans le traitement de patients âgés de 18 mois et plus présentant un diagnostic clinique, moléculaire et génétiquement confirmé de deficit en décarboxylase d'acide L-aminé aromatique (aromatic L-amino acid decarboxylase, AADC) associé à un phénotype sévère.

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

Ce document est diffusé sous l'autorité de l'ANSM.

Version 2.0
Fév. 2025

PTC Therapeutics International Ltd

PRÉPARATION D'UPSTAZA™

Précautions à prendre avant la manipulation ou l'administration du médicament

Ce médicament contient un virus génétiquement modifié.

Un équipement de protection individuelle (comprenant une blouse de laboratoire, des lunettes de sécurité, un masque et des gants) doit être porté pendant la manipulation de l'éladocagène exuparvovec et du matériel ayant été en contact avec la solution (déchets solides et liquides).

Informations sur la posologie

Upstaza™ (éladocagène exuparvovec) est administré dans un centre spécialisé en neurochirurgie stéréotaxique par un neurochirurgien qualifié dans des conditions aseptiques contrôlées. Cette administration est réalisée par injection bilatérale dans les deux putamens au cours d'une seule intervention chirurgicale stéréotaxique. Quatre perfusions distinctes de même volume sont effectuées : au niveau du putamen antérieur droit, au niveau du putamen postérieur droit, au niveau du putamen antérieur gauche et au niveau du putamen postérieur gauche. La dose totale d'Upstaza™ reçue par un patient est de $1,8 \times 10^{11}$ génomes de vecteur (vg) administrés en quatre perfusions de 0,08 mL ($0,45 \times 10^{11}$ vg) (deux par putamen).

Matériel/Équipement

- Un flacon unidose d'Upstaza™
- Une seringue stérile Luer Lock de 5 mL /1 mL en polypropylène avec pistons sans latex, lubrifiés avec de l'huile de silicone de qualité médicale
- Une aiguille filtre stérile de 18 ou 19 G et 1,5" en inox, avec filtre de 5 µm
- Un capuchon de seringue Luer Lock stérile
- Un ou plusieurs sachets ou emballages stériles conformes à la procédure hospitalière de transfert et d'utilisation de la seringue remplie dans le bloc opératoire prévu (voir étape 10 de la préparation)
- Une méthode d'étiquetage du matériel utilisé dans le poste de sécurité microbiologique (PSM) conforme à la procédure d'étiquetage de la pharmacie
- Une étiquette pour la seringue remplie d'Upstaza™, conforme à la procédure de la pharmacie et à la réglementation locale
- Équipement de protection individuelle (EPI) et consommables appropriés pour la manipulation du matériel susmentionné dans le PSM
- PSM de classe II
- Contenant de protection secondaire (p.ex. glacière en plastique dur)

Inte MANUEL PHARMACIE v2.0.indd 1 07/02/2025 15:51:53

Réception d'Upstaza

Upstaza™ sera remis au personnel de la pharmacie par le transporteur dans un conteneur rempli de carboglace muni d'un enregistreur de température. Il doit être retiré du conteneur et placé immédiatement au congélateur à ≤ -65 °C jusqu'à ce qu'il soit préparé pour l'administration. L'enregistreur de température doit être arrêté et le relevé de la température enregistrée pendant le transport doit être vérifié. Les instructions pour l'utilisation de l'enregistreur de température et la transmission des données sont incluses dans le conteneur. Le personnel de la pharmacie doit envoyer le relevé de l'enregistreur de température et le formulaire de réception signé à PTC. Après avoir analysé les données de température, PTC enverra au centre de traitement une déclaration indiquant si le produit peut être utilisé.

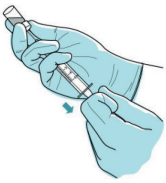
Préparation

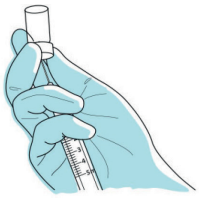
Upstaza™ est livré congelé et doit être conservé dans son emballage extérieur à une température ≤-65 °C jusqu'à sa préparation avant l'emploi. L'administration d'Upstaza™ doit commencer dans les 6 heures suivant le début de sa décongélation. Il ne doit pas être recongelé. Utiliser une technique stérile et des conditions d'asepsie dans un poste de sécurité microbiologique (PSM) de classe II. Tous les déchets doivent être éliminés conformément aux directives locales en matière de déchets à risques biologiques.

1. Conformément aux procédures de l'hôpital, enregistrer le numéro du lot d'Upstaza™ préparé.
2. Sortir le flacon d'Upstaza™ du congélateur à ≤ -65 °C. Noter l'heure de début de la décongélation d'Upstaza™. Rappel : l'administration d'Upstaza™ doit commencer dans les 6 heures suivant l'heure initiale de décongélation. Poser le flacon à la verticale et le laisser à température ambiante jusqu'à ce que son contenu soit complètement décongelé (environ 15-20 minutes).
3. Après avoir vérifié que le flacon est entièrement décongelé, le retourner délicatement environ 3 fois. Ne pas secouer. Après agitation, inspecter le produit pour vérifier qu'il ne contient pas de particules, qu'il n'est pas trouble ou qu'il n'a pas changé de couleur. Ne pas utiliser le produit si l'une de ces caractéristiques est présente.
4. Porter des gants stériles et autres équipements de protection individuelle (EPI), conformément à la procédure en vigueur pour le travail en PSM.
5. Désinfecter le PSM selon les procédures de l'hôpital.
6. Transférer le flacon, la seringue, l'aiguille, le capuchon de la seringue, les poches stériles ou les emballages stériles et les étiquettes dans le PSM. Remarque : selon la taille du PSM, il est possible d'y transférer le matériel au fur et à mesure des besoins pour chaque étape de la préparation.
7. Ouvrir la seringue Luer Lock de 5 mL / 1 mL et l'étiqueter en tant que seringue contenant le produit Upstaza™, conformément à la procédure de la pharmacie et aux réglementations locales. Fixer l'aiguille filtre 18 ou 19 gauges à la seringue.

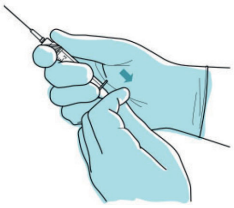
Inte MANUEL PHARMACIE v2.0.indd 2 07/02/2025 15:51:53

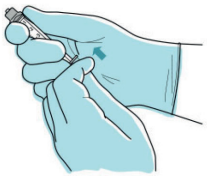
8. Prélever le volume complet du flacon d'Upstaza™ dans la seringue. Retourner le flacon et la seringue et retirer ou incliner partiellement l'aiguille si nécessaire afin de récupérer le maximum d'Upstaza™ ; vérifier que la seringue contient au moins 0,5 mL.

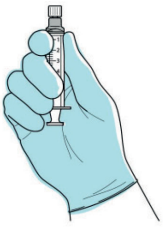




9. Aspirer de l'air dans la seringue afin que l'aiguille soit vidée de son contenu. Retirer avec précaution l'aiguille de la seringue de 5 mL / 1 mL contenant la préparation finale d'Upstaza™. Purger l'air de la seringue jusqu'à ce qu'il ne reste plus aucune bulle d'air, puis fermer la seringue avec un capuchon de seringue.







10. Envelopper la seringue dans un sachet ou un emballage stérile conformément aux procédures de l'hôpital et à la réglementation locale et la déposer dans un contenant secondaire de protection approprié (par exemple une glacière en plastique dur) pour son transport jusqu'au bloc opératoire à température ambiante. L'utilisation de la seringue d'Upstaza™ préparée (c'est-à-dire le raccordement de la seringue au pousse-seringue et le début de l'amorçage de la canule) doit débuter **dans les 6 heures suivant le début de la décongélation d'Upstaza™** .
11. Si la seringue préparée contenant Upstaza™ n'est pas utilisée pour quelque raison que ce soit, elle doit être retournée à la pharmacie et détruite selon les procédures locales standard.

Signalement des effets indésirables

Il est demandé aux professionnels de santé de signaler tout effet indésirable au Centre Régional de Pharmacovigilance (CRPV) ou via le portail de signalement du ministère de la santé : https://signalement.social-sante.gouv.fr

Vous pouvez également signaler les effets indésirables à PTC Therapeutics à l'adresse suivante : pharmacovigilance@ptcbio.com

Si vous avez des questions ou si vous avez besoin d'informations supplémentaires, contactez PTC Therapeutics à l'adresse medinfo@ptcbio.com

Les informations complètes sur le produit sont disponibles dans la base de données publique sur les médicaments ou le site Web :
http://base-donnees-publique.medicaments.gouv.fr

Inte MANUEL PHARMACIE v2.0.indd 3 07/02/2025 15:51:53

NOTES

Inte MANUEL PHARMACIE v2.0.indd 4 07/02/2025 15:51:53