

GUIDE DESTINÉ AUX PARENTS / TUTEURS D'ENFANTS TRAITÉS PAR LIBMELDY

LIBMELDY® ▼ 2 - 10 x 10⁶ cellules/ml dispersion pour perfusion

(atidarsagène autotemcel)

Informations importantes concernant le suivi des enfants ayant reçu une thérapie génique par Libmeldy.

Veillez lire attentivement ce guide ainsi que la notice avant que votre enfant ne reçoive ce médicament, car ces documents contiennent des informations importantes.

▼ Ce médicament fait l'objet d'une surveillance supplémentaire qui permettra l'identification rapide de nouvelles informations relatives à la sécurité. Vous pouvez y contribuer en signalant tout effet indésirable que vous observez chez votre enfant. Voir à la fin de ce guide comment déclarer les effets indésirables.

À propos de ce guide

Les informations contenues dans ce guide sont essentielles pour assurer un suivi efficace du traitement de votre enfant par Libmeldy.

Libmeldy est un médicament de thérapie génique : il est fabriqué spécialement pour votre enfant à partir de ses cellules sanguines.

Les enfants atteints de leucodystrophie métachromatique (LDM) ont une anomalie dans le gène qui sert à fabriquer une enzyme appelée arylsulfatase A (ARSA). Cela conduit à une accumulation de substances appelées *sulfatides* dans le cerveau et le système nerveux, ce qui provoque des lésions du système nerveux.

Lors d'un traitement par Libmeldy, des cellules appelées *cellules souches* sont collectées dans le sang de votre enfant. Elles sont ensuite modifiées en laboratoire par l'insertion d'un gène fonctionnel pour la production de l'enzyme ARSA. Lorsque votre enfant reçoit du Libmeldy, qui est constitué de ces cellules modifiées, les cellules vont commencer à fabriquer de l'ARSA pour dégrader les sulfatides des cellules nerveuses et d'autres cellules du corps de votre enfant. Cela devrait ralentir la progression de la maladie et améliorer la qualité de vie de votre enfant.

Veillez lire ce guide attentivement, ainsi que la notice du médicament, et contacter le médecin spécialiste de votre enfant si vous avez des questions.

Thérapie génique de la LDM et risque de cancer du sang

La manière dont la copie fonctionnelle du gène ARSA est placée dans les cellules souches de votre enfant peut potentiellement modifier le matériel génétique contenu dans ces cellules. Ceci pourrait placer votre enfant à risque de développer une leucémie ou un lymphome, c'est à dire des types de cancer qui affectent les globules blancs. Il est donc important de surveiller votre enfant afin de détecter tout signe ou symptôme de leucémie ou de lymphome.

Les symptômes de leucémie ou de lymphome peuvent inclure : fièvre, essoufflement, pâleur, sueurs nocturnes, fatigue, gonflement des ganglions lymphatiques, infections fréquentes, une tendance à saigner et/ou à présenter facilement des hématomes, ou de petits points rouges ou violets sous la peau. Si votre enfant développe l'un de ces symptômes, contactez le médecin spécialiste immédiatement et signalez ces informations en utilisant les coordonnées fournies à la fin de ce guide.

Le médecin spécialiste analysera le sang de votre enfant afin de détecter tout signe de leucémie ou de lymphome au cours des examens de contrôle annuels, qui se poursuivront après le traitement.

Carte d'alerte du patient

Après avoir été traité par Libmeldy, votre enfant recevra une carte d'alerte du patient qui contient des informations très importantes. Cette carte d'alerte doit être portée par le patient qui a reçu Libmeldy ou par ses parents/tuteurs, afin d'informer tout professionnel de santé qu'il/elle a été traité/e par Libmeldy.

Importance d'une surveillance régulière

Un médecin spécialiste surveillera l'état de votre enfant au fil du temps (et ce jusqu'à 15 ans après le traitement) pour vérifier qu'il ne présente pas de symptômes associés aux risques expliqués dans ce guide, ou tout autre symptôme. Il peut être difficile pour certains patients d'expliquer comment ils se sentent ; n'hésitez pas à signaler tout symptôme ou toute préoccupation au médecin spécialiste qui traite votre enfant.

Inclusion dans une étude de suivi à long terme

Une étude de suivi à long terme a été mise en place pour suivre les patients traités par Libmeldy afin de mieux comprendre les effets à long terme de ce médicament. Vous serez informé sur cette étude par le médecin qui prend en charge votre enfant.

Déclaration des effets indésirables

Si votre enfant ressent un quelconque effet indésirable, parlez-en à son médecin ou à son infirmier/ère. Ceci s'applique aussi à tout effet indésirable qui ne serait pas mentionné dans la notice d'information du médicament.

Vous pouvez également déclarer les effets indésirables directement via le portail de signalement des événements sanitaires indésirables du ministère chargé de la santé <https://www.signalement-sante.gouv.fr/>. Pour plus d'information, consulter la rubrique « Déclarer un effet indésirable » sur le site Internet de l'ANSM : <https://ansm.sante.fr>.

Déclarez également les effets indésirables à Orchard Therapeutics per e-mail à: drugsafety@orchard-tx.com.

Lors de la déclaration des effets indésirables possibles, incluez le numéro de lot individuel du médicament qui se trouve sur la carte d'alerte du patient.