

▼ معلومات هامة بشأن سلامة عقار كاسجي®
(إكساجامجلوجين أوتوتيمسيل)

دليل المرضى ومقدمي الرعاية

عقار كاسجي® (إكساجامجلوجين أوتوتيمسيل) هو علاج جيني يمكن استخدامه مرة واحدة لعلاج:

- الأشخاص البالغة أعمارهم 12 عاماً فما فوق المصابين بالثالاسيما بيتا (β-thal) ويحتاجون إلى نقل دم منتظم.
- الأشخاص البالغة أعمارهم 12 عاماً فما فوق المصابين بمرض فقر الدم المنجل (SCD) ويعانون من نوبات الألم المتكررة (تسمى نوبات الانسداد الوعائي أو VOCs).

مقدمو الرعاية: يرجى دعم المريض الذي تقدم له الرعاية في فهم هذا الدليل.

يوفر هذا الدليل معلومات حول أثرين جانبيين هامين لعقار كاسجي®:

- اتخاذ الجسم فترة طويلة من الوقت بعد تلقي العلاج بعقار كاسجي® لإنتاج مستويات كافية من الصفائح الدموية (ما يُعرف بفترة تعليم الصفائح الدموية المطولة). الصفائح الدموية هي عبارة عن خلايا الدم التي تلتصل معاً لمنع النزيف. عندما تكون مستويات الصفائح الدموية غير كافية، يزيد خطر التعرض لنزيف.
- احتمالية فشل تجديد العدّلات في الجسم بعد تلقي العلاج بعقار كاسجي® (ما يُعرف بفشل تعليم العدّلات). وتعرف العدّلات بأنها نوع من خلايا الدم البيضاء التي تحمي الجسم من العدوى. حيث يؤدي فشل تجديد هذه الخلايا إلى زيادة خطر الإصابة بعدوى.

للمزيد من المعلومات حول عقار كاسجي® يرجى قراءة نشرة معلومات المريض والتحدث إلى طبيبك للحصول على مزيد من المعلومات.

الإصدار 1.0
تاريخ الإعداد: مايو 2024



وافقت الهيئة العامة للغذاء والدواء على هذا الدليل مايو 2024

1. نبذة عن عقار كاسجيبي

عقار كاسجيبي هو علاج جيني يستخدم لمرة واحدة. في حال استخدام عقار كاسجيبي، يُجرى تغيير في جين محدد يتحكم في نوع محدد من الهيموجلوبين يُسمى الهيموجلوبين الجنيني (HbF). يزيد هذا التغيير إنتاج الهيموجلوبين الجنيني (HbF). مما يؤدي إلى ارتفاع مستوى الهيموجلوبين الجنيني (HbF). ومستويات الهيموجلوبين العامة في الجسم، حيث تبين أن هذا يُحسن إنتاج خلايا الدم الحمراء ووظيفتها في نقل الأكسجين في الجسم.

يصنع عقار كاسجيبي بشكل مخصص لكل مريض، وذلك باستخدام خلايا الدم الجذعية الخاصة بالمريض.

المسرد	
هي نوع خاص من الخلايا يمكن أن يتحوال إلى عدة أنواع مختلفة من الخلايا، مثل خلايا الدم	الخلايا الجذعية
هي نوع من الخلايا الجذعية الموجودة في نخاع العظم ويمكن أن تتحول إلى خلايا دم حمراء أو صفائح دموية أو خلايا دم بيضاء	خلايا الدم الجذعية
هي خلايا الدم التي تلتصق معاً لمنع النزيف	الصفائح الدموية
هي خلايا الدم التي تشكل جزءاً من النظام المناعي. وهي هامة لحماية الجسم من العدو	خلايا الدم البيضاء
هي نوع من خلايا الدم البيضاء	العَدَّلات
هي نوع من خلايا الدم التي تنقل الأكسجين في الجسم	خلايا الدم الحمراء

لإنتاج عقار كاسجيبي لك، تُجمع خلايا الدم الجذعية منك وتتغير جينياً خارج جسمك. ثم تُعطي الخلايا المتغيرة جينياً لك مرة أخرى عن طريق زراعة خلايا الدم الجذعية، ما يُعرف كذلك باسم زراعة نخاع العظم. زراعة خلايا الدم الجذعية هو علاج يستبدل خلايا الدم الجذعية غير الصحية بالخلايا الصحية المتغيرة جينياً. لن يتم تغيير بعض من الخلايا الجذعية الأصلية المجمعة جينياً وستحفظ "كخلايا إنقاذ" في حال كانت هناك مشكلة ما في علاجك.

قبل تلقي العلاج بعقار كاسجيبي، ستمر بمرحلتين قبل العلاج:

- تحريك الخلايا الجذعية: في هذه المرحلة، سُتعطى أدوية تُحرك خلايا الدم الجذعية من نخاع العظم إلى مجرى الدم حتى يسهل جمعها من الجسم من خلال إجراء يُسمى فصل مكونات الدم. و هي عملية يُسحب فيها جزء من الدم مؤقتاً من الجسم لجمع خلايا الدم الجذعية. بعد جمع الخلايا، يتم إعادة دم الشخص إلى جسمه. من المحمّل أن تتحاج إلى تكرار هذه المرحلة في حال عدم جمع خلايا كافية في المرة الأولى. سُتستخدم الخلايا المُجمّعة خلال التحريك لصنع عقار كاسجيبي الذي سيُعطى لك بعد مرحلة التهيئة. ستنتغرق مرحلة التحريك و الفصل هذه من يومين إلى ستة أيام.
- التهيئة: في هذه المرحلة، سُتعطى عقاراً للتهيئة (و هو نوع من العلاج الكيميائي) كتسريب في الوريد لبضعة أيام في المستشفى. حيث سيزيل هذا العقار معظم خلايا الدم الجذعية التي لا تعمل لديك بشكل صحيح من نخاع العظم لتوفير الفرصة لخلايا الدم الجذعية المتغيرة جينياً (عقار كاسجيبي) التي تختلفها في يوم عملية الزراعة لكي تتكاثر.

2. تأثيرات جانبية مهمة

بعد تلقي عقار كاسجيفي، سيكون لديك عدد أقل من خلايا الدم في جسمك حتى يقبل جسمك بنجاح الخلايا الجذعية المتعيرة جينياً التي تتلقاها في يوم عملية الزراعة وتبدأ هذه الخلايا بالتكاثر (أو التطعيم). وهذا يعني أنك ستكون أكثر عرضة في البداية، لخطر التزيف (بسبب نقص الصفائح الدموية) أو العدوى (بسبب انخفاض مستوى العدّلات) حتى تتجدد هذه الخلايا من تلفها نفسها.

في أثناء الوجود في المستشفى، سيراقب طبيبك عدد خلايا الدم لديك، بما في ذلك الصفائح الدموية والعدّلات (خلايا الدم البيضاء)، من خلال إجراء فحوصات منتظمة للدم. وستظل في المستشفى حتى تعود العدّلات إلى مستوى يمكنك من التصدي للعدوى. قد يستغرق هذا شهرين تقريباً، قد تختلف الفترة من مريض إلى آخر. سيقرر أحد أطباء الفريق متى يمكنك العودة إلى المنزل

من المحتمل أن تفشل العدّلات في التجدد في الجسم بعد تلقي العلاج بعقار كاسجيفي. إذا حدث ذلك، فقد يكون من الضروري إعادة خلايا الدم الجذعية الأصلية (خلايا الإنقاذ) الخاصة بك التي جمعت وحفظت قبل تلقيك عقار كاسجيفي إلى جسمك. إذا كان الأمر كذلك، فلن تستفيد من العلاج بعقار كاسجيفي.

بمجرد خروجك من المستشفى، يمكن أن تكون مستويات الصفائح الدموية لديك لا تزال لم تعد إلى طبيعتها بعد. فقد تمر فترة طويلة من الوقت بعد تلقي العلاج بعقار كاسجيفي حتى ينتج جسمك مستويات كافية من الصفائح الدموية. سيستمر طبيبك في مراقبة أعداد الصفائح الدموية من خلال إجراء فحوصات الدم بعد خروجك من المستشفى. ستكون معرضاً لخطر التزيف حتى تعود الصفائح الدموية لديك إلى مستوى كافٍ من المهم للغاية أن تراقب أي أعراض قد تنتج عن التزيف.

بعض أعراض التزيف مدرجة أدناه مع ذلك، لا تشمل هذه القائمة كل عَرض من أعراض التزيف.

أبلغ طبيبك على الفور إذا ظهرت لديك أي أعراض للنزيف، حتى إذا لم تكن مدرجة أدناه:

- نزيف من دون إصابة مثل:
- ◆ الرعاف
- ◆ نزيف اللثة
- ◆ الدم المرافق للبول أو البراز أو القيء
- ◆ سعال الدم
- كدمات غير طبيعية
- نزيف مطول
- صداع شديد

عند خروجك من المستشفى، سيعطيك الطبيب بطاقة مريض. احتفظ بهذه البطاقة معك في جميع الأوقات لتنذّرك بأعراض النزيف واجعل كل أطبائك يرون البطاقة.

لا يحتوي هذا الدليل على كل المعلومات حول عقار كاسجيفي. يُرجى قراءة نشرة معلومات المريض والتحدث إلى طبيبك للحصول على مزيد من المعلومات.

3. معلومات هامة أخرى

بما أن عقار كاسجيفي هو علاج جيني، فبمجرد تلقي العلاج به، سوف يتعدى عليك تماماً التبرع بالدم أو بالأعضاء أو بالأنسجة أو بالخلايا.

4. الإبلاغ بالتأثيرات الجانبية

إذا ظهرت عليك أنت أو الشخص الذي تقدم الرعاية إليه أي تأثيرات جانبية بعد تلقي العلاج بعقار كاسجيفي، فتحتدى إلى الطبيب أو الممرض. يشمل هذا أي تأثيرات جانبية، ليست فقط تلك التأثيرات الواردة في هذا الدليل.

يمكنك كذلك إبلاغ المركز الوطني للتبيظ الدوائي (NPC) بالتأثيرات الجانبية:



مركز الاتصال التابع للهيئة العامة للغذاء والدواء 19999

البريد الإلكتروني: npc.drug@sfda.gov.sa

الموقع الإلكتروني: <https://ade.sfda.gov.sa>

من خلال الإبلاغ بالتأثيرات الجانبية، فإنك تساعد على توفير مزيد من المعلومات حول مدى سلامة هذا العلاج.

ينبغي كذلك إبلاغ شركة فيرتكس للأدوية بأي آثار سلبية مشتبه فيها تجاه عقار كاسجيفي عن طريق الاتصال على reportAE@vrtx.com أو التواصل عبر 800-844-3907



علامة كلمة كاسجيبي وتصميمها علامات مسجلة لشركة فيرتكس المحدودة للأدوية
ستكون هناك نسخ إضافية متاحة لهذا الدليل عند الطلب .