

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

# دليل للمرضى ومقدمي الرعاية

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

- الأشخاص البالغه أعمارهم 12 عامًا فما فوق المصابين بالثلاسيميا بيتا ( $\beta$ -thal) ويحتاجون إلى نقل دم منتظم.
- الأشخاص البالغه أعمارهم 12 عامًا فما فوق المصابين بمرض فقر الدم المنجلي (SCD) ويعانون من نوبات الألم المتكررة (تسمى نوبات الانسداد الوعائي أو VOCs).

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

يوفر هذا الدليل معلومات حول أثنين جانبيين هامين لعقار كاسجيفي:

- اتخاذ الجسم فترة طويلة من الوقت بعد تلقي العلاج بعقار كاسجيفي لإنتاج مستويات كافية من الصفائح الدموية (ما يُعرف بفترة تطعيم الصفائح الدموية المطولة). الصفائح الدموية هي عبارة عن خلايا الدم التي تلتصق معًا لمنع النزيف. عندما تكون مستويات الصفائح الدموية غير كافية، يزيد خطر التعرض لنزيف.
- احتمالية فشل تجديد العدلات في الجسم بعد تلقي العلاج بعقار كاسجيفي (ما يُعرف بفشل تطعيم العدلات). وتعرف العدلات 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 كاسجيفي يُرجى 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 كاسجيفي

عقار كاسجيفي هو علاج جيني يُستخدم لمرة واحدة. في حال استخدام عقار كاسجيفي، 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). و مستويات الهيموجلوبين العامة في الجسم، حيث تبين أن هذا يُحسّن إنتاج خلايا الدم الحمراء ووظيفتها في نقل الأكسجين في الجسم.

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

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

لإنتاج عقار كاسجيفي لك، تُجمع خلايا الدم الجذعية منك وتتغير جينيًا خارج جسمك. ثم تُعطى الخلايا المتغيرة جينيًا 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 جينيًا. لن يتم تغيير بعض من الخلايا الجذعية الأصلية المجمعة جينيًا و ستحفظ "كخلايا إنقاذ" في حال كانت هناك مشكلة ما في علاجك.

قبل تلقي العلاج بعقار كاسجيفي، ستمر بمرحلتين قبل العلاج:

- تحريك الخلايا الجذعية: في هذه المرحلة، سَتُعطى 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 مؤقتًا من الجسم لجمع خلايا الدم الجذعية. بعد جمع الخلايا، يتم إعادة دم الشخص إلى جسمه. من المحتمل أن تحتاج إلى تكرار هذه المرحلة في حال عدم جمع خلايا كافية في المرة الأولى. ستُستخدم الخلايا المُجمعة خلال التحريك لصنع عقار كاسجيفي الذي سَتُعطى لك بعد مرحلة التهينة. ستستغرق مرحلة التحريك و الفصل هذه من يومين إلى ستة أيام.
- التهينة: في هذه المرحلة، سَتُعطى عقاراً للتهينة (وهو 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 جينيًا (عقار كاسجيفي) التي تتلقاها 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 المتغيرة جينياً التي تتلقاها في يوم عملية الزراعة وتبدأ هذه الخلايا بالتكاثر (أو التطعيم). وهذا يعني أنك ستكون أكثر عرضة في البداية، لخطر النزيف (بسبب نقص الصفائح الدموية) أو العدوى (بسبب انخفاض مستوى العدلات) حتى تتجدد هذه الخلايا من تلقاء نفسها.

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

من المحتمل أن تفشل العدلات 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 جُمعت و حُفظت قبل تلقيك عقار كاسجيفي إلى جسمك. إذا كان الأمر كذلك، فلن تستفيد من العلاج بعقار كاسجيفي.

بمجرد خروجك من المستشفى، يُمكن 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 مُعرضاً لخطر النزيف حتى تعود الصفائح الدموية لديك إلى مستوى كافٍ من المهم للغاية أن تراقب أي أعراض قد تنتج عن النزيف.

بعض أعراض النزيف مدرجة أدناه مع ذلك، لا تشمل هذه القائمة كل عَرَض من أعراض النزيف .

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

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

عند خروجك من المستشفى، سيعطيك الطبيب بطاقة مريض. احتفظ بهذه البطاقة معك في جميع الأوقات لتُذكرك بأعراض النزيف واجعل كل أطباءك 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 يتعذر عليك تمامًا 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، فتحدث إلى الطبيب أو الممرض. يشمل هذا أي تأثيرات جانبية، ليست فقط تلك التأثيرات الواردة في هذا الدليل.

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



- مركز الاتصال التابع للهيئة العامة للغذاء والدواء 19999
- البريد الإلكتروني: [npc.drug@sfd.gov.sa](mailto:npc.drug@sfd.gov.sa)
- الموقع الإلكتروني: <https://ade.sfd.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 مشتببه فيها تجاه عقار كاسجيفي عن طريق الاتصال على 800-844-3907 أو التواصل عبر [reportAE@vrtx.com](mailto:reportAE@vrtx.com).





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