دليل المريض والوالد/مقدّم الرعاية

ليبميلدي مُعلّق للتسريب الوريدي
أتيدارساجين أوتوتيمسيل خلايا ($CD34^+$)

معلومات مهمة للحد من مخاطر المتابعة ودليل تعليمي للمرضى ومقدمي الرعاية للمرضى الذين تلقوا علاجًا جينيًا بدواء ليبميلدي (مجموعة غنية بخلايا $CD34^+$ ذاتية المنشأ تحتوي على خلايا جذعية مكوّنة للدم وخلايا سلفية (HSPC) تم نقلها *خارج الجسم* باستخدام ناقل فيروسي عدسي يشفّر جين أريل سلفاتاز أ البشري (ARSA)).

اقرأ هذه النشرة بالكامل بإمعان قبل إعطاء طفلك (أو إعطاؤك) هذا الدواء لأنها تحتوي على معلومات مهمة.

من خلال الإبلاغ عن الآثار الجانبية، يمكنك المساعدة في تقديم المزيد من المعلومات حول سلامة هذا الدواء. عند الإبلاغ عن الآثار الجانبية المحتملة، قُم بتضمين رقم تشغيلة المنتج الدوائي، الموجود على بطاقة تنبيه المريض.

يمكنك المساعدة في توفير المزيد من المعلومات حول سلامة هذا الدواء عن طريق الإبلاغ عن أي أعراض جانبية، أو إذا لاحظت أي أعراض جانبية غير مذكورة في هذه النشرة، إذا ظهرت على طفلك أي أعراض جانبية .يُرجى إبلاغ طبيب طفلك أو الممرضة.

حول هذا الدليل

تُعد المعلومات الواردة في هذا الدليل ضرورية لضمان المتابعة الفعالة بعد العلاج الجيني لطفلك باستخدام ليبميلدي لعلاج حثل المادة البيضاء المتبدل اللون (MLD) وتصف سبب وكيفية تنفيذ ذلك.
يُرجى قراءة هذا الدليل بعناية والتواصل مع طبيب طفلك المختص إذا كانت لديك أي أسئلة.

تمت الموافقة على هذه الوثيقة من قسم التيقظ الدوائي في الهيئة العامة للغذاء والدواء.

العلاج الجيني لمرض حثل المادة البيضاء المتبدل اللون وخطر الإصابة بسرطان الدم

قد تؤدي طريقة وضع النسخة العاملة من جين أريل سلفاتاز أ في الخلايا الجذعية لطفلك إلى تعديل المادة الجينية في هذه الخلايا. وقد يعرّض ذلك طفلك لخطر الإصابة باللوكيميا أو الأورام اللمفاوية، وهي أنواع من السرطان تُصيب خلايا الدم البيضاء. لذلك من المهم مراقبة المريض للتأكد من عدم إصابته بأعراض اللوكيميا أو الأورام اللمفاوية.

قد تتضمن أعراض اللوكيميا أو الأورام اللمفاوية الحمّى، وضيق التنفس، والشحوب، والتعرق الليلي، والتعب، وتورم الغدد اللمفاوية، وحالات العدوى المتكررة، القابلية للنزيف والتكدم بسهولة أو أيًّا مما سبق، أو وجود بقع حمراء أو أرجوانية تحت الجلد. إذا أصيب طفلك بأي من هذه الأعراض، فعليك التواصل فورًا مع الطبيب المختص وإبلاغ هذه المعلومات أيضًا باستخدام تفاصيل الاتصال الواردة في نهاية هذه الدليل.

سيفحص الطبيب المختص دم طفلك بحثًا عن أي علامات للوكيميا أو الأورام الليمفاوية أثناء الفحوصات السنوية الروتينية، والتي يجب أن تستمر بعد العلاج.

بطاقة تنبيه المريض

بعد علاج طفلك بدواء ليبملدي، سيتلقى بطاقة تنبيه المريض التي ستحتوي على معلومات مهمة جدًا. يجب حمل بطاقة تنبيه المريض من قبل الشخص الذي تلقى ليبملدي أو من قبل والده/مقدم الرعاية المتابع له من أجل إبلاغ أي اختصاصي رعاية صحية مُعالج بأنه قد تم علاجه بدواء ليبملدي.

أهمية المراقبة المنتظمة

سيتابع طبيب مختص ما يحرزه طفلك من تقدم مع مرور الوقت للتحقق من المخاطر المحددة الموضحة في هذا الدليل وأي أعراض أخرى. قد يكون من الصعب على بعض المرضى التعبير عما يشعرون به؛ لذلك لا تتردد في الإبلاغ عن أي أعراض أو مخاوف قد تكون لديك إلى الطبيب المختص.

الإبلاغ عن الآثار الجانبية

إذا أُصيب طفلك بأي آثار جانبية، فتحدّث إلى طبيبه أو ممرضته. يشمل ذلك أي آثار جانبية محتملة غير مذكورة في نشرة العبوة.
يمكنك أيضًا الإبلاغ عن الآثار الجانبية مباشرةً إلى
رقم الاتصال بالهيئة :19999
البريد الإلكتروني: npc.drug@sfda.gov.sa
الموقع الإلكتروني: https://ade.sfda.gov.sa/
أو إلى شركة Orchard Therapeutics عبر البريد الإلكتروني إلى drugsafety@orchard-tx.com
او drug-safety@cigalah.com.sa
عند الإبلاغ عن الآثار الجانبية، قُم بتضمين رقم تشغيلة المنتج الدوائي الموجود على بطاقة تنبيه المريض.