



Les autorités de santé de l'Union Européenne ont assorti la mise sur le marché du médicament STRIMVELIS<sup>®</sup> de certaines conditions. Le plan obligatoire de minimisation des risques en Belgique, dont cette information fait partie, est une mesure prise pour garantir une utilisation sûre et efficace du médicament STRIMVELIS<sup>®</sup> (RMA version 10/2016).



## **STRIMVELIS<sup>®</sup>**

*(cellules CD34<sup>+</sup> autologues transduites pour exprimer le gène ADA)*

▼ Ce médicament fait l'objet d'une surveillance supplémentaire

### **Brochure d'information destinée aux parents/aidants**

**Informations importantes liées au suivi et à la minimisation des risques pour les enfants qui ont reçu une thérapie génique par STRIMVELIS.**

**Lisez attentivement la notice avant l'administration de STRIMVELIS**

### **But de ce matériel (RMA ou Risk Minimisation Activities) :**

**Cette information fait partie du plan de gestion des risques en Belgique, qui met du matériel d'information à la disposition des professionnels de la santé et des patients.**

**Ces activités additionnelles de minimisation des risques ont pour but une utilisation sûre et efficace de STRIMVELIS et doivent comporter les parties importantes suivantes :**

- Brochure d'information destinée aux parents /aidants
- Carte d'alerte du patient
- Notice
- Formulaire de consentement au produit
- Formulaire de consentement au registre des patients

### **À propos de cette brochure**

Les informations présentées dans cette brochure sont essentielles pour garantir un suivi efficace de votre enfant après une thérapie génique par Strimvelis pour traiter son DICS-ADA (Déficit Immunitaire Combiné Sévère par Déficit en Adénosine Désaminase). Elles décrivent pourquoi et comment ce suivi doit être assuré. Veuillez lire cette brochure avec attention et consulter votre médecin spécialiste si vous avez la moindre question.

Votre médecin spécialiste suivra régulièrement l'évolution de votre enfant afin de vérifier qu'il ne développe pas les risques spécifiques abordés dans cette brochure ni d'autres symptômes. Vous devrez également lui signaler tous les symptômes que vous observerez et lui faire part de vos doutes.

## **Qu'est-ce que Strimvelis et dans quel cas est-il utilisé ?**

Strimvelis est un type de médicament appelé médicament de **thérapie génique**.

Strimvelis est utilisé pour traiter une maladie grave appelée **DICS-ADA** (*Déficit Immunitaire Combiné Sévère par déficit en Adénosine Désaminase*). Dans cette maladie, le système immunitaire ne fonctionne pas correctement pour défendre l'organisme contre les infections. Les personnes atteintes d'un DICS-ADA ne produisent pas suffisamment d'enzyme appelée *adénosine désaminase (ADA)* car le gène qui doit la produire est défectueux.

Strimvelis est utilisé pour traiter le DICS-ADA lorsqu'aucun membre de la famille ne peut donner de cellules souches de la moelle osseuse pour réaliser une greffe.

Strimvelis est fabriqué spécialement pour chaque patient, en utilisant ses propres cellules de moelle osseuse. Pour cela, un nouveau gène est introduit à l'intérieur des cellules souches prélevées de la moelle osseuse pour que celles-ci produisent de l'adénosine désaminase (ADA).

## **Principaux risques liés au Strimvelis**

1. Thérapie génique contre le DICS-ADA et risque de leucémie (cancer du sang)
2. Auto-immunité
3. Réponse insuffisante au traitement

## **1. Thérapie génique contre le DICS-ADA et risque de leucémie (cancer du sang)**

La méthode utilisée pour introduire une copie fonctionnelle du gène de l'enzyme *ADA* (adénosine désaminase) dans les cellules de moelle osseuse d'un enfant peut endommager le matériel génétique présent dans ces cellules. Cela comporte un risque de leucémie pour l'enfant, un type de cancer qui affecte les globules blancs. Aucun des enfants traités jusqu'ici par Strimvelis n'a présenté de leucémie, mais il existe un risque faible que cela se produise à l'avenir. Il est par conséquent important de vérifier que votre enfant ne présente pas des symptômes de leucémie.

Les symptômes de leucémie peuvent comprendre : fièvre, essoufflement, pâleur, sueurs nocturnes, fatigue, gonflement des ganglions lymphatiques, infections à répétition, tendance aux saignements et/ou aux hématomes (« bleus ») ou présence de minuscules boutons rouges ou violets sous la peau. Si votre enfant développe l'un de ces symptômes, consultez immédiatement votre médecin spécialiste et contactez aussi le système de déclaration aux coordonnées mentionnées à la fin de cette brochure.

Votre médecin spécialiste vérifiera chaque année que les analyses sanguines de votre enfant n'évoquent pas des signes de leucémie. Ces contrôles annuels seront effectués à vie. Un registre spécifique a également été créé afin de collecter, sur le long terme, les informations de sécurité fournies par les médecins et les parents/aidants dont l'enfant a été traité par Strimvelis. Vous devriez avoir été averti(e) de l'existence de ce registre. Si ce n'est pas le cas, veuillez demander à votre spécialiste de vous expliquer le fonctionnement de ce registre.

## **2. Auto-immunité**

Ce phénomène se produit lorsque le système immunitaire d'une personne considère comme étrangers ses propres tissus et cellules, et attaque des cellules qui sont saines. Étant donné que les enfants atteints de DICS-ADA ont un système immunitaire défaillant, ils présentent souvent une auto-immunité avant le traitement. Des atteintes auto-immunes peuvent également être observées après le traitement, habituellement au cours des trois premières années, lorsque le système immunitaire de l'enfant se constitue.

L'auto-immunité peut aller d'une réaction immunitaire mineure aux maladies auto-immunes comme l'anémie ou des atteintes du foie. Votre enfant est plus susceptible d'avoir des problèmes auto-immuns après la thérapie génique s'il en a déjà eu avant le traitement ou s'il y a des antécédents d'auto-immunité dans votre famille.

Les symptômes peuvent inclure : température élevée, éruption cutanée, douleurs articulaires, douleurs ou faiblesse musculaires, sensation persistante de fatigue ou de malaise. Votre médecin spécialiste dépistera les signes d'auto-immunité durant le suivi de votre enfant et vous pouvez l'aider en lui signalant immédiatement tout symptôme que vous remarqueriez. Ces effets indésirables doivent également être signalés aux coordonnées mentionnées à la fin de cette brochure.

### **3. Réponse insuffisante au traitement**

La thérapie génique est conçue pour traiter les manifestations immunitaires du DICS-ADA, notamment les infections graves à répétition. Cependant, elle n'aura probablement aucun effet sur les manifestations non immunologiques, telles que l'infiltration graisseuse du foie, l'audition réduite ou les troubles du comportement. Néanmoins, la présence de symptômes non immunitaires ne signifie pas forcément que votre enfant ne répond pas de manière adéquate à la thérapie génique. Votre médecin examinera les deux aspects du DICS-ADA lors des visites de suivi de routine de votre enfant.

Contactez immédiatement votre médecin spécialiste si vous avez l'impression que votre enfant répond moins bien à la thérapie génique (p.ex. s'il développe des signes d'infection tels que fièvre, toux, selles molles, douleur lorsqu'il urine). Des analyses de sang et d'autres tests seront nécessaires pour évaluer la fonction immunitaire de votre enfant et vérifier que l'enzyme ADA fournie par Strimvelis fonctionne toujours correctement.

Si ces tests confirment une réponse inadéquate, un traitement de substitution enzymatique ou une greffe de moelle osseuse peuvent toujours être envisagés pour votre enfant.

## **Grossesse et Fertilité**

Le moment venu, une planification familiale est recommandée après le traitement par Strimvelis. En effet, ce traitement ne vise pas à corriger le problème génétique touchant les cellules reproductrices de votre enfant, et ses effets sur la grossesse sont encore inconnus. Votre médecin spécialiste pourra vous conseiller en matière de planification familiale lorsque vous ou votre enfant estimerez qu'il/elle a l'âge pour ce faire.

**Coordonnées à utiliser pour signaler tout effet indésirable ou symptôme observé chez votre enfant :**

Si votre enfant ressent ou développe un quelconque effet indésirable, parlez-en à votre médecin spécialiste. Ceci s'applique aussi à tout effet indésirable qui ne serait pas mentionné dans cette notice. Vous pouvez également déclarer les effets indésirables directement à GSK ou via le système national de déclaration mentionné ci-dessous. En signalant les effets indésirables, vous contribuez à fournir davantage d'informations sur la sécurité du médicament.

GSK - Département Medical Information

TEL : 010/85.85.00

Mail : [be.medinfo@gsk.com](mailto:be.medinfo@gsk.com)

Agence fédérale des médicaments et des produits de santé - Division Vigilance

EUROSTATION II

Place Victor Horta, 40/ 40

B-1060 Bruxelles

Site internet: [www.afmps.be](http://www.afmps.be)

e-mail: [patientinfo@fagg-afmps.be](mailto:patientinfo@fagg-afmps.be)

Editeur responsable: GlaxoSmithKline Pharmaceuticals s.a./n.v.  
Site Apollo Avenue Pascal,2-4-6  
1300 Wavre Belgique.

