

Een Direct Healthcare Professional Communication (DHPC) is een schrijven dat naar de gezondheidszorgbeoefenaars wordt gezonden door de farmaceutische firma's, om hen te informeren over mogelijke risico's, opgetreden tijdens het gebruik van bepaalde geneesmiddelen, alsook over de maatregelen of de aanbevelingen om deze risico's te beperken. De bedoeling van dit soort communicatie is de gezondheidszorgbeoefenaars zo goed mogelijk te informeren om de gebruiksveiligheid te verbeteren in het kader van het correct gebruik van geneesmiddelen. Voor de verspreiding dienen de firma's hun voorstel voor de DHPC voor te leggen aan de bevoegde autoriteiten ter goedkeuring.

Deze DHPC's zijn specifiek bestemd voor artsen en apothekers. Aangezien de DHPC's wel toegankelijk zijn voor het publiek, verzoeken wij patiënten die naar aanleiding van het vernemen van deze informatie vragen hebben, hun arts of apotheker te raadplegen.

Informatie verstrekt onder het gezag van het FAGG

Rechtstreekse mededeling aan de gezondheidszorgbeoefenaars

15 Maart 2021

Strimvelis[®] ▼ (autologe met CD34⁺ verrijkte celfractie, die CD34⁺-cellen bevat die getransduceerd zijn met een retrovirale vector die codeert voor de menselijke adenosinedeaminase- (ADA-)-cDNA-sequentie): eerste geval van lymfoïde T-cel leukemie na insertie-oncogenese

Strimvelis is momenteel niet in België op de markt.

Maar enkele Belgische artsen hebben patiënten doorverwezen naar het TIGET-OSR (Ospedale San Raffaele - Telethon Institute for Gene Therapy) in Italië. voor een behandeling met Strimvelis.

Deze Rechtstreekse mededeling aan de gezondheidszorgbeoefenaars (DHPC: Direct Healthcare Professional Communication) wordt alleen verstuurd naar artsen die een patiënt naar het TIGET-OSR hebben doorverwezen.

Geachte heer/ mevrouw,

In overleg met het Europese geneesmiddelenagentschap (EMA: European Medicines Agency) en het Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten (FAGG) wil Orchard Therapeutics (Netherlands) B.V. [hierna Orchard genoemd] u informeren over het volgende:

Samenvatting

- **Er is lymfoïde T-cel leukemie gemeld bij een patiënt met ADA-SCID (severe combined immunodeficiency due to adenosine deaminase deficiency), 4,7 jaar na de behandeling met Strimvelis.**
- **Dit eerste geval van een hematologische maligniteit na de behandeling met Strimvelis wordt geacht het gevolg te zijn van insertie-oncogenese.**
- **De patiënten moeten gedurende lange termijn worden gecontroleerd, en minimaal één keer per jaar voor controle terugkomen gedurende de eerste elf jaren en vervolgens in jaar 13 en jaar 15 na de behandeling met Strimvelis, waarbij een compleet bloedbeeld wordt uitgevoerd met differentiële telling, biochemie en thyroïdstimulerend hormoon.**

Algemene informatie over het veiligheidsprobleem

Strimvelis is een autologe met CD34⁺ verrijkte celfractie die CD34⁺-cellen bevat die getransduceerd zijn met een gamma-retrovirale vector die codeert voor de menselijke adenosinedeaminase- (ADA-)-cDNA-sequentie uit humane hematopoëtische stam-/voorloper- (CD34⁺-)cellen. Het is geïndiceerd voor de behandeling van patiënten met ernstige gecombineerde immunodeficiëntie als gevolg van adenosinedeaminasedeficiëntie (ADA-SCID), voor wie geen geschikte verwante stamceldonor die humaan leukocytenantigeen- (HLA) compatibel is, beschikbaar is.

Er is een geval van lymfoïde T-cel leukemie (acute leukemie van het T-celtype) gemeld bij een patiënt met ADA-SCID, 4,7 jaar na de behandeling met Strimvelis in 2016. Bij analyse van de retrovirale insertielocatie (RIS) werd één dominante kloon geïdentificeerd op ongeveer 40 kb stroomopwaarts van het LMO2-gen, een bekend oncogeen, met een abundantie van $\geq 98\%$.

Op dit moment is dit het enige geval van lymfoïde T-celleukemie bij 33 patiënten met ADA-SCID die zijn behandeld met Strimvelis (frequentie: 3%).

Ter vergelijking; de gerapporteerde incidentie van maligniteiten na transplantatie voor SCID-patiënten (inclusief ADA-SCID) is 25 van de 1075 patiënten (2,3%) die tussen 1968 en 2003 allogene HSCT hebben ondergaan, zoals gemeld bij het Center for International Blood and Marrow Transplant Research [Kamani, 2011].

De Samenvatting van de Kenmerken van het Product (SKP), de bijsluiter en het educatief materiaal van Strimvelis worden bijgewerkt met de nieuwe informatie over het risico op maligniteit als gevolg van insertie-oncogenese.

Melden van bijwerkingen

De gezondheidszorgbeoefenaars worden verzocht de bijwerkingen geassocieerd met het gebruik van Strimvelis te melden aan de afdeling Vigilantie van het FAGG. Het melden kan bij voorkeur online gebeuren via www.eenbijwerkingmelden.be of anders via de “papierene gele fiche” die op verzoek verkrijgbaar is bij het FAGG of die kan worden afgedrukt op de website van het FAGG, www.fagg.be. De ingevulde gele fiche kan per post verzonden worden naar het adres FAGG – afdeling Vigilantie – Galileelaan 5/03 – 1210 Brussel, per fax op het nummer 02/528.40.01, of per mail naar: adr@fagg.be

Bijwerkingen geassocieerd met het gebruik van Strimvelis kunnen ook worden gemeld aan de dienst voor Geneesmiddelenbewaking van Orchard Therapeutics per e-mail naar drugsafety@orchard-tx.com.

▼ Dit geneesmiddel is onderworpen aan aanvullende monitoring. Daardoor kan snel nieuwe veiligheidsinformatie worden vastgesteld. Gezondheidszorgbeoefenaars worden verzocht alle vermoedelijke bijwerkingen te melden.

Bij het melden van mogelijk bijwerkingen wordt u verzocht om het partijnummer van de individuele patiënt te vermelden dat op de waarschuwingskaart voor patiënten staat.

Vraag voor bijkomende informatie

Indien u vragen heeft of meer informatie wenst met betrekking tot Strimvelis, kunt u contact opnemen met Orchard via medinfo@orchard-tx.com.

A handwritten signature in black ink, appearing to read 'Pascale Vincendon', written over a faint, illegible background.

Pascale VINCENDON, PhD, DU med
Medical Director France, BeNeLux & NORDICS
EMEA Medical Affairs
Orchard Therapeutics