

▼ Ce médicament fait l'objet d'une surveillance supplémentaire qui permettra l'identification rapide de nouvelles informations relatives à la sécurité. Vous pouvez y contribuer en signalant tout effet secondaire. Voir à la fin de la rubrique « Quels effets secondaires Casgevy peut-il provoquer ? » pour savoir comment déclarer les effets secondaires.

Information destinée aux patients

Lisez attentivement cette notice d'emballage avant de prendre ou d'utiliser ce médicament. Ce médicament vous a été remis personnellement sur ordonnance médicale. Ne le remettez donc pas à d'autres personnes, même si elles semblent présenter les mêmes symptômes que vous. En effet, ce médicament pourrait nuire à leur santé.

Conservez cette notice d'emballage pour pouvoir la relire plus tard si nécessaire.

Casgevy 4 à 13 × 10⁶ cellules/ml dispersion pour perfusion

Vertex Pharmaceuticals (CH) GmbH

Qu'est-ce que Casgevy et quand doit-il être utilisé?

Selon prescription du médecin.

Qu'est-ce que Casgevy

Casgevy est un médicament de thérapie génique qui contient la substance active exagamglogène autotemcel.

Casgevy est fabriqué spécifiquement pour vous à partir de vos propres cellules souches sanguines. Les cellules souches sanguines sont des cellules qui peuvent se transformer en d'autres types de cellules sanguines, globules rouges, globules blancs et plaquettes. Ces cellules sont prélevées à partir de votre sang, puis sont génétiquement modifiées et vous sont ensuite réinjectées à l'hôpital sous forme de greffe.

Dans quel cas Casgevy est-il utilisé

Casgevy est utilisé pour traiter:

- **Les patients âgés de 12 ans et plus atteints de bêta-thalassémie** qui ont besoin de transfusions sanguines régulières (bêta-thalassémie dépendante des transfusions, TDT). Chez les patients atteints de TDT, l'organisme ne produit pas suffisamment d'hémoglobine, une protéine présente dans le sang qui transporte l'oxygène dans tout le corps, en raison d'une anomalie génétique. Cela entraîne une anémie et les patients ont besoin de transfusions sanguines régulières.
- **Les patients âgés de 12 ans et plus atteints de drépanocytose** qui présentent des crises douloureuses fréquentes (appelées crises vaso-occlusives ou CVO). Les patients atteints de drépanocytose ont un type d'hémoglobine (HbS, S étant l'abréviation du mot anglais «sickle» qui signifie «faucille») différent de celui des autres personnes en raison d'une anomalie génétique. La présence d'HbS entraîne la production de globules rouges anormaux en forme de faucille qui s'agregent et ne peuvent pas circuler librement dans les vaisseaux sanguins. Cela entraîne une obstruction des vaisseaux sanguins, ce qui provoque des crises vaso-occlusives.

Comment agit Casgevy

Casgevy agit en augmentant la synthèse d'un type spécial d'hémoglobine appelée hémoglobine F (hémoglobine fœtale, ou HbF). L'augmentation de l'HbF améliore la synthèse et la fonction des globules rouges. De ce fait, les patients atteints de TDT peuvent ne plus avoir besoin de transfusions sanguines et les patients atteints de drépanocytose peuvent ne plus présenter de crises vaso-occlusives.

De quoi faut-il tenir compte en dehors du traitement?

Mises en garde et précautions

Adressez-vous à votre médecin ou infirmier/ère avant de recevoir Casgevy.



Avant le traitement par Casgevy

- Vous recevrez **deux autres types de médicaments** avant de recevoir Casgevy. Pour plus d'informations sur ces médicaments, voir « Comment utiliser Casgevy ? ».
 - Un ou plusieurs **médicament(s) pour la mobilisation** provoquant le déplacement des cellules souches sanguines de la moelle osseuse vers la circulation sanguine, afin qu'elles puissent être prélevées pour la fabrication de Casgevy. Cette étape durera deux à six jours.
 - Un **médicament pour le conditionnement**, qui sera administré peu de temps avant la perfusion de Casgevy. Cela permettra de libérer de l'espace dans la moelle osseuse pour permettre aux nouvelles cellules sanguines de se développer après le traitement par Casgevy.
- Le médecin vous expliquera quel est **l'effet possible sur la fertilité du médicament utilisé pour le conditionnement**. Voir ci-dessous à la rubrique « Casgevy peut-il être utilisé pendant la grossesse ou l'allaitement ? ».
- Chez les patients atteints de drépanocytose, il peut être plus difficile que chez les patients atteints de TDT d'obtenir le déplacement des cellules souches sanguines à partir de la moelle osseuse et donc de prélever les cellules. Le nombre de cycles de mobilisation et de prélèvement nécessaires peut donc être plus élevé chez les patients atteints de drépanocytose que chez les patients atteints de TDT.

Après le traitement par Casgevy

- Vous aurez temporairement des taux plus faibles de cellules sanguines, jusqu'à ce que les cellules contenues dans Casgevy s'implantent dans votre moelle osseuse. Cela comprend:
 - Un taux faible de plaquettes (les cellules qui contribuent à la coagulation du sang). Cela peut entraîner des saignements.
Informez immédiatement votre médecin si vous présentez l'un des signes suivants de taux faible de plaquettes: maux de tête intenses, ecchymoses inhabituelles, saignements prolongés ou saignements en l'absence de blessure tels que saignements de nez, des gencives, présence de sang dans les urines, les selles, les vomissures ou les expectorations.
 - Un taux faible de neutrophiles (un type de globules blancs qui combattent les infections). Cela peut entraîner une sensibilité accrue aux infections.
Informez immédiatement votre médecin si vous présentez l'un des signes suivants de taux faible de globules blancs : fièvre, frissons ou autres signes d'infections tels que mal de gorge, toux ou essoufflement, douleur ou sensation de brûlure en urinant ou besoin fréquent d'uriner ou diarrhée.
- Votre médecin surveillera vos taux de cellules sanguines et vous prescrira un traitement si nécessaire. Il vous dira quand vos taux de plaquettes et de neutrophiles seront revenus à des valeurs sûres.
- Le médecin surveillera vos taux de cellules sanguines et votre état de santé général afin d'aider les chercheurs à comprendre les effets à long terme de Casgevy.
- Chez certains patients, le taux d'hémoglobine peut être inférieur aux valeurs normales attendues pour leur âge et leur sexe.
- Il existe un risque théorique de cancers du sang (syndrome myélodysplasique, leucémie ou lymphome) après le traitement par Casgevy, bien qu'il n'ait pas été observé de cas dans les études menées avec Casgevy. Votre médecin demandera un bilan de contrôle au moins une fois par an pendant au moins 15 ans afin que des signes de cancer du sang puissent être détectés.
- Les composants diméthylsulfoxyde (DMSO), dextran 40 et Cas9 contenus dans Casgevy peuvent provoquer des réactions allergiques graves. Votre médecin ou infirmier/ère vous surveillera afin de détecter des signes et symptômes de réaction allergique pendant et après la perfusion de Casgevy. Voir également « Casgevy contient du sodium et du diméthylsulfoxyde (DMSO) » à la rubrique «



Quelles sont les précautions à observer lors de l'utilisation de Casgevy ? ».

- Casgevy est soumis à des tests destinés à rechercher la présence d'agents infectieux, mais il subsiste un faible risque d'infection. Votre médecin ou infirmier/ère vous surveillera afin de détecter des signes et symptômes d'infection et un traitement approprié vous sera prescrit le cas échéant.
- Après le traitement par Casgevy, **vous ne devrez jamais faire de don** de sang, d'organes, de tissus ou de cellules.
- Casgevy est fabriqué à partir de vos propres cellules sanguines et n'est administré qu'à vous-même. Les informations sur les médicaments à base de cellules doivent être conservées pendant 30 ans à l'hôpital où le traitement est administré. Les informations conservées comporteront votre nom, le nom du produit et le numéro du ou des lot(s) de Casgevy que vous avez reçu(s).

Si le traitement par Casgevy ne peut pas être administré ou échoue

Si Casgevy ne peut pas être administré après le traitement de conditionnement, ou si les cellules souches sanguines modifiées ne s'implantent pas, le médecin pourra décider de vous injecter dans une veine vos propres cellules (cellules souches sanguines non modifiées dites cellules de secours) ayant été prélevées et conservées avant le début du traitement (voir « Comment utiliser Casgevy ? »). Si vous recevez les cellules de secours, vous ne tirerez aucun bénéfice du traitement et vous aurez toujours besoin d'un traitement de la TDT ou de la drépanocytose.

Quand Casgevy ne doit-il pas être utilisé?

Vous ne devez jamais recevoir Casgevy:

- **si vous êtes allergique à l'exagamlogène autotemcel** ou à l'un des autres composants contenus dans ce médicament (voir « Que contient Casgevy ? »),
- **si vous êtes allergique à l'un des composants** des médicaments que vous recevrez pour vous préparer au traitement par Casgevy (voir « Comment utiliser Casgevy ? »).

Si l'un de ces cas vous concerne ou en cas de doute, **informez immédiatement votre médecin**. Vous ne recevrez pas le traitement si vous êtes allergique à l'un des composants de ces médicaments.

Quelles sont les précautions à observer lors de l'utilisation de Casgevy?

Autres médicaments et Casgevy

Informez votre médecin ou infirmier/ère si vous prenez, avez récemment pris ou pourriez prendre tout autre médicament.

Vous ne devez pas prendre de médicaments destinés à éliminer le fer de votre organisme (chélateurs du fer tels que déféroxamine, déféripnone et/ou déférasirox) pendant au moins sept jours avant le début du traitement de conditionnement. Votre médecin vous dira si et quand vous pouvez commencer à prendre ces médicaments après le traitement par Casgevy.

Vous ne devez pas prendre de médicaments pour le traitement de la drépanocytose (tels qu'hydroxyurée/hydroxycarbamide, crizanlizumab ou voxelotor) pendant au moins huit semaines avant le début des traitements de mobilisation et de conditionnement. Votre médecin vous dira si et quand vous devez commencer à prendre ces médicaments après le traitement par Casgevy.

Les vaccins appelés « vaccins vivants » ne doivent pas être administrés pendant les six semaines précédant l'administration du médicament de conditionnement utilisé pour vous préparer au traitement par Casgevy, ni après le traitement par Casgevy, pendant la reconstitution de votre système immunitaire (le système de défense de l'organisme). Si vous devez recevoir une vaccination, parlez-en à votre médecin.

Conduite et utilisation de machines

Les médicaments utilisés pour la mobilisation et le conditionnement avant le traitement par Casgevy peuvent provoquer des sensations vertigineuses et une fatigue. Si vous présentez des sensations vertigineuses, une fatigue ou une sensation de mal-être, vous ne devez pas conduire, utiliser des machines ou effectuer des activités nécessitant de la vigilance.



Dextran

Ce médicament contient du dextran 40. Les dextrans peuvent provoquer des réactions allergiques graves et soudaines avec des symptômes tels que des difficultés respiratoires, des gonflements, des étourdissements, tachycardie (fréquence cardiaque élevée), transpiration et perte de conscience. Consultez immédiatement un médecin si vous présentez l'un de ces symptômes.

Casgevy contient du sodium et du diméthylsulfoxyde (DMSO)

Ce médicament contient environ 5,3 mg à 70 mg de sodium (composant principal du sel de cuisine/table) par flacon. Cela équivaut à 0,3 % à 4 % de l'apport alimentaire quotidien maximal recommandé de sodium pour un adulte. Le nombre total de flacons composant une dose varie en fonction du patient.

Ce médicament contient environ 50 mg de DMSO par ml. Voir « De quoi faut-il tenir compte en dehors du traitement ? ».

Potassium

Ce médicament contient 3 mg à 40 mg de potassium par flacon. À prendre en compte chez les patients insuffisants rénaux ou chez les patients contrôlant leur apport alimentaire en potassium. Peut causer des douleurs au site d'injection.

Veuillez informer votre médecin ou votre pharmacien si

- vous souffrez d'une autre maladie
- vous êtes allergique
- vous prenez déjà d'autres médicaments (même en automédication !).

Casgevy peut-il être utilisé pendant la grossesse ou l'allaitement?

Grossesse

Ce traitement ne doit pas être administré pendant la grossesse en raison des effets possibles du médicament utilisé pour le conditionnement. Les effets de Casgevy chez la femme enceinte ne sont pas connus. Vous devez parler avec votre médecin de la possibilité de grossesse après le traitement par Casgevy.

Si vous découvrez que vous êtes enceinte ou si vous pensez être enceinte après le traitement par Casgevy, **informez immédiatement votre médecin.**

Si vous êtes une femme en âge de procréer, **un test de grossesse sera réalisé** avant le début des traitements de mobilisation et de conditionnement afin de vérifier que vous n'êtes pas enceinte.

Contraception chez les hommes et les femmes

Si vous êtes une femme en âge de procréer ou un homme apte à concevoir, **vous devrez utiliser une contraception efficace** à partir du début du traitement de mobilisation et **pendant au moins 6 mois** après l'administration de Casgevy. Vous devez parler avec votre médecin des méthodes contraceptives appropriées.

Allaitement

L'allaitement doit être interrompu pendant le conditionnement en raison des effets possibles du médicament utilisé pour le conditionnement. On ne sait pas si les composants de Casgevy peuvent passer dans le lait maternel. Votre médecin parlera avec vous du bénéfice de l'allaitement pour votre enfant par rapport aux risques possibles du traitement.

Fertilité chez les hommes et les femmes

Il est possible que les femmes ne puissent plus être enceintes et que les hommes ne puissent plus concevoir après avoir reçu le médicament utilisé pour le conditionnement. **Vous devez parler de vos options avec votre médecin avant le traitement.** Elles peuvent comprendre la conservation de matériel biologique (par exemple ovules, sperme) en vue d'une utilisation ultérieure.



Comment utiliser Casgevy?

Casgevy est administré une seule fois.

Casgevy ne peut être administré que dans un centre de traitement qualifié (hôpital spécialisé) par un médecin expérimenté dans les greffes de cellules souches et dans le traitement des patients présentant des affections hématologiques telles que la TDT et la drépanocytose.

ÉTAPE 1: Avant le traitement par Casgevy, vous recevrez un **médicament pour la mobilisation**. Ce médicament provoque le déplacement des cellules souches sanguines de la moelle osseuse jusque dans la circulation sanguine. Les cellules sont ensuite prélevées dans un appareil qui sépare les différents composants du sang (cette technique est appelée *aphérèse*). Cette étape pourra être effectuée en totalité plus d'une fois. La durée de chaque étape de prélèvement est d'environ une semaine.

Des « **cellules de secours** » sont également prélevées et conservées à l'hôpital. Ce sont vos cellules souches sanguines actuelles et elles seront conservées sans être modifiées, pour le cas où un problème surviendrait au cours du traitement. Voir « *Si le traitement par Casgevy ne peut pas être administré ou échoue* » à la rubrique « De quoi faut-il tenir compte en dehors du traitement ? ».

ÉTAPE 2: Vos cellules souches sanguines seront envoyées à l'établissement de fabrication où elles seront **utilisées pour la fabrication de Casgevy**. Le délai entre le prélèvement de vos cellules pour la fabrication et les tests de Casgevy et l'envoi du médicament à votre médecin peut aller jusqu'à 6 mois.

ÉTAPE 3: Peu de temps avant votre greffe de cellules souches, vous recevrez un **médicament pour le conditionnement** administré à l'hôpital. Cette étape dure environ deux à six jours et vous préparera au traitement en éliminant les cellules de la moelle osseuse, afin qu'elles puissent être remplacées par les cellules modifiées contenues dans Casgevy. Après que vous aurez reçu ce médicament, les taux de cellules sanguines diminueront à des niveaux très faibles (voir « Quels effets secondaires Casgevy peut-il provoquer ? »). Vous resterez à l'hôpital jusqu'à la perfusion de Casgevy et après la perfusion.

ÉTAPE 4: Le contenu d'un ou plusieurs flacon(s) de Casgevy sera administré par injection dans une veine via un cathéter veineux central. Un cathéter veineux central est un tube fin et souple qui est inséré par un médecin ou un(e) infirmier/ère dans une grosse veine pour permettre un accès à la circulation sanguine. Les risques associés aux cathéters sont des infections et la formation de caillots sanguins. Le médecin et les infirmiers/ères vous surveilleront afin de détecter d'éventuelles complications liées au cathéter veineux central. La durée nécessaire pour effectuer toutes les injections peut être de quelques heures. Après avoir reçu Casgevy, vous resterez à l'hôpital de façon à ce que votre équipe soignante puisse surveiller étroitement votre rétablissement. Cela peut prendre environ deux mois, mais la durée est variable. Un médecin déterminera quand vous pourrez sortir de l'hôpital.

Enfants âgés de moins de 12 ans

Casgevy ne doit pas être administré chez les enfants âgés de moins de 12 ans. La sécurité et l'efficacité de Casgevy n'ont pas été établies pour les enfants de moins de 12 ans.

Patients âgés de plus de 35 ans

Casgevy n'a pas été étudié chez les patients âgés de plus de 35 ans.

Quels effets secondaires Casgevy peut-il provoquer?

Comme tous les médicaments, ce médicament peut provoquer des effets secondaires, mais ils ne surviennent pas systématiquement chez tout le monde. Vous devez parler avec votre médecin ou infirmier/ère des effets secondaires éventuels.

Certains effets secondaires sont liés aux médicaments utilisés pour la mobilisation et le conditionnement. Vous devez également lire les notices d'emballage de ces médicaments.

Les effets secondaires graves ci-dessous peuvent survenir dans les quelques jours ou semaines suivant le traitement, mais également apparaître beaucoup plus tard.

- Douleur dans la région supérieure droite de l'abdomen sous les côtes, jaunissement du blanc des yeux ou de la peau, prise de poids rapide, gonflement des bras, des jambes et de l'abdomen et



difficultés respiratoires.

Ils peuvent être des signes d'une maladie hépatique grave appelée maladie veino-occlusive.

- Maux de tête intenses, ecchymoses inhabituelles, saignements prolongés ou saignements en l'absence de blessure tels que saignements de nez, des gencives, présence de sang dans les urines, les selles, les vomissures ou les expectorations.

Ils peuvent être des signes de thrombopénie, un taux faible de plaquettes, ce qui peut diminuer la capacité du sang à coaguler et entraîner des saignements.

- Fièvres, frissons ou infections.

Ils peuvent être des signes de neutropénie, un taux faible des globules blancs appelés neutrophiles qui combattent les infections.

Informez immédiatement votre médecin si vous présentez l'un des effets secondaires mentionnés ci-dessus.

Autres effets secondaires liés au médicament utilisé pour la mobilisation et au prélèvement des cellules:

Très fréquents (concerne plus d'un utilisateur sur 10)

- envie de vomir (nausées);
- vomissements;
- maux de tête;
- douleurs abdominales;
- douleurs musculaires ou osseuses.

Fréquents (concerne 1 à 10 utilisateurs sur 100)

- affection pulmonaire survenant chez les patients atteints de drépanocytose qui provoque des symptômes tels que douleur subite dans la poitrine, fièvre, difficultés respiratoires, avec la présence de liquide dans les poumons montrée par la radiographie pulmonaire (syndrome thoracique aigu);
- crise douloureuse drépanocytaire;
- fièvre;
- taux élevé de globules blancs (leucocytose);
- diarrhée;
- douleur buccale et mal de gorge;
- sensation d'engourdissement autour de la bouche;
- douleurs articulaires;
- douleur généralisée;
- fatigue;
- taux faible de potassium (hypokaliémie);
- taux faible de magnésium (hypomagnésémie);
- taux élevé de phosphate (hyperphosphatémie).

Autres effets secondaires liés au médicament utilisé pour le conditionnement

Très fréquents (concerne plus d'un utilisateur sur 10)

- taux faible de neutrophiles (un type de globules blancs) accompagné de fièvre (neutropénie fébrile);
- taux faible de globules rouges (anémie);
- taux faible de lymphocytes, un type de globules blancs (lymphopénie);



- taux faible de globules blancs (leucopénie);
- taux faible de potassium (hypokaliémie);
- taux élevé de phosphate (hyperphosphatémie);
- taux faible de magnésium (hypomagnésémie);
- taux faible de phosphate (hypophosphatémie);
- rétention hydrique;
- maux de tête;
- fièvre;
- fatigue;
- saignements de nez;
- envie de vomir (nausées);
- vomissements;
- douleurs abdominales;
- inflammation de la muqueuse de l'estomac;
- constipation;
- diarrhée;
- douleur buccale et mal de gorge;
- inflammation des muqueuses, par exemple des gencives (mucite);
- diminution de l'appétit;
- perte de poids;
- douleurs musculaires ou osseuses;
- sécheresse cutanée;
- desquamation;
- modification de la couleur de la peau et des ongles;
- petites taches de sang sous la peau;
- éruption cutanée;
- chute de cheveux (alopécie);
- taux élevé de bilirubine, un produit de dégradation des globules rouges, ce qui peut provoquer une coloration jaune de la peau et du blanc des yeux (hyperbilirubinémie);
- augmentation du taux d'une enzyme hépatique (augmentation de l'alanine aminotransférase);
- absence de règles.

Fréquents (concerne 1 à 10 utilisateurs sur 100)

- ensemble de symptômes ressemblant à ceux de la pneumonie tels que fièvre, frissons, toux et difficultés respiratoires survenant sans signe d'infection pulmonaire (syndrome de pneumonie idiopathique);
- incapacité des poumons à oxygéner le sang (insuffisance respiratoire);
- difficultés respiratoires;
- infection du sang (sepsis);
- infection du sang causée par la bactérie *Klebsiella* (sepsis à *Klebsiella*);



- infection pulmonaire (pneumonie);
- infection de la bouche causée par un champignon (candidose buccale);
- infection des follicules pileux (folliculite);
- augmentation de la fréquence cardiaque (tachycardie);
- augmentations des taux sanguins d'enzymes hépatiques (augmentations de l'aspartate aminotransférase et de la gamma-glutamyltransférase) ;
- pression artérielle faible (hypotension);
- taux faible d'oxygène dans le sang (hypoxie);
- augmentation du volume du foie;
- augmentation du volume de la rate;
- atteinte des nerfs des bras et/ou des jambes provoquant une douleur ou un engourdissement, des sensations de brûlure et de picotements et fourmillements (neuropathie périphérique);
- troubles neurologiques provoquant une douleur ou un engourdissement, des sensations de brûlure et de picotements et fourmillements (neuropathie périphérique sensitive);
- douleur neuropathique;
- altérations du goût;
- vision trouble;
- sécheresse oculaire;
- bouffées congestives;
- toux;
- digestion difficile;
- affection dans laquelle les acides gastriques remontent dans l'œsophage (reflux gastro-œsophagien);
- saignement des gencives (saignement gingival);
- mal de gorge;
- difficultés pour avaler;
- inflammation du côlon provoquant des douleurs et une diarrhée (colite);
- inflammation de l'œsophage (œsophagite);
- présence de sang dans les vomissures;
- saignements rectaux;
- inflammation de l'estomac et de l'intestin;
- aphtes buccaux;
- douleur généralisée;
- douleur en urinant;
- présence de sang dans les urines;
- saignements entre les règles;
- règles irrégulières;
- douleur vulvaire et vaginale;
- ménopause précoce;
- prise de poids;



- ecchymoses;
- démangeaisons;
- rougeur de la peau;
- fissures cutanées ou éraflures;
- taux faibles de tous les types de cellules sanguines (pancytopénie);
- taux faible de réticulocytes, un type de globules rouges immatures (réticulocytopenie);
- saignement dans la région du cerveau qui contrôle l'équilibre et la coordination (hémorragie cérébelleuse);
- accumulation anormale du liquide dans lequel baignent le cerveau et la moelle épinière (hydrocéphalie);
- taux faible d'albumine, une protéine sanguine (hypoalbuminémie);
- taux faible de calcium (hypocalcémie);
- douleurs articulaires;
- allongement du temps de coagulation du sang;
- taux élevé d'un marqueur de l'inflammation (taux élevé de protéine C réactive);
- allongement du délai nécessaire pour que les cellules greffées commencent à se développer et à produire des cellules sanguines normales (retard de prise de greffe des neutrophiles).

Autres effets secondaires liés à Casgevy

Fréquents (concerne 1 à 10 utilisateurs sur 100)

- affection du système immunitaire (lymphohistiocytose hémophagocytaire) dans laquelle certains types de globules blancs (histiocytes et lymphocytes) s'accumulent dans les organes, ce qui provoque une inflammation excessive et la destruction des tissus. Les symptômes peuvent être une fièvre en l'absence d'infection qui ne disparaît pas avec l'administration d'antibiotiques, une augmentation du volume du foie et/ou de la rate, une éruption cutanée, des difficultés respiratoires, une tendance aux ecchymoses, une pression artérielle faible, une atteinte rénale et des troubles cardiaques;
- difficultés respiratoires pouvant nécessiter de l'oxygène pour aider à respirer, parfois accompagnées de douleurs dans la poitrine, de fièvre, de frissons ou de toux (syndrome de détresse respiratoire aiguë);
- ensemble de symptômes ressemblant à ceux de la pneumonie tels que fièvre, frissons, toux et difficultés respiratoires survenant sans signe d'infection pulmonaire (syndrome de pneumonie idiopathique);
- augmentation de la fréquence cardiaque (tachycardie);
- taux faible de globules rouges (anémie);
- taux faible de globules blancs (leucopénie);
- taux faible de calcium (hypocalcémie);
- maux de tête;
- sensations d'engourdissement, de picotements ou de fourmillements (paresthésie);
- saignements de nez;
- éruption cutanée;
- petites taches de sang sous la peau;
- fièvre;



- frissons;
- allongement du délai nécessaire pour que les cellules greffées commencent à se développer et à produire des cellules sanguines normales (retard de prise de greffe des neutrophiles);
- frissons et accélération du rythme cardiaque au moment de l'administration de Casgevy (réactions liées à la perfusion).

Si vous présentez l'un de ces effets secondaires, **veuillez en informer votre médecin ou infirmier/ère**. Si l'un des effets secondaires s'aggrave, **informez immédiatement votre médecin ou infirmier/ère**.

Si vous remarquez des effets secondaires, veuillez en informer votre médecin ou votre pharmacien. Ceci vaut en particulier pour les effets secondaires éventuels non mentionnés dans cette notice d'emballage.

À quoi faut-il encore faire attention?

Stabilité

Ce médicament ne doit pas être utilisé au-delà de la date figurant après la mention «EXP» sur l'emballage et sur chaque flacon.

Remarques concernant le stockage

Ces informations sont destinées exclusivement aux médecins et infirmiers/ères.

Ce médicament devant être administré par un médecin ou un(e) infirmier/ère qualifiés, ceux-ci sont responsables du stockage approprié du médicament avant et pendant son utilisation, ainsi que de son élimination correcte.

Tenir hors de portée des enfants.

Conserver congelé à -135 °C ou en dessous de -135 °C. Conserver le ou les flacon(s) dans la boîte jusqu'au moment de la décongélation. Décongeler un flacon à la fois. Ne pas décongeler avant d'être prêt à administrer la perfusion. Ne pas recongeler après la décongélation. Une fois décongelé, le médicament doit être conservé à température ambiante (20 °C - 25 °C) et administré dans les 20 minutes.

Ce médicament contient des cellules sanguines humaines. Tout médicament non utilisé doit être éliminé conformément aux procédures locales sur la manipulation de matériel d'origine humaine.

Remarques complémentaires

Pour de plus amples renseignements, consultez votre médecin ou votre pharmacien, qui disposent d'une information détaillée destinée aux professionnels.

Que contient Casgevy?

Principes actifs

Exagamglogène autotemcel.

Excipients

Les autres composants sont une solution utilisée pour conserver les cellules congelées qui contient du sodium, du diméthylsulfoxyde (DMSO) et du dextran 40. Voir « De quoi faut-il tenir compte en dehors du traitement ? ».

Numéro d'autorisation

68978 (Swissmedic).

Où obtenez-vous Casgevy? Quels sont les emballages à disposition sur le marché?

Casgevy est administré directement par votre médecin.

Un ml de Casgevy contient 4 à 13×10^6 cellules (cellules souches sanguines).

Casgevy est une dispersion pour perfusion translucide. Casgevy est présenté en flacons contenant 1,5 ml à 20 ml de dispersion pour perfusion. Un ou plusieurs flacon(s) est/sont emballé(s) dans une boîte. Une



boîte peut contenir jusqu'à 9 flacons. Le nombre de flacons est spécifique à la dose de chaque patient. Votre dose peut consister en plusieurs flacons et boîtes.

Votre nom et votre date de naissance, ainsi que des informations codées permettant de vous identifier comme étant le ou la patient(e) à traiter, sont imprimés sur une étiquette apposée sur chaque boîte et flacon.

Titulaire de l'autorisation

Vertex Pharmaceuticals (CH) GmbH

6300 Zug

Cette notice d'emballage a été vérifiée pour la dernière fois en septembre 2026 par l'autorité de contrôle des médicaments (Swissmedic).

