

▼ Questo medicamento è soggetto a monitoraggio addizionale. Ciò consente una rapida identificazione delle nuove conoscenze in materia di sicurezza. Può contribuire segnalando gli effetti collaterali. Per le indicazioni sulla notifica degli effetti collaterali, cfr. la fine del capitolo «Quali effetti collaterali può avere Casgevy?».

Informazione destinata ai pazienti

Legga attentamente il foglietto illustrativo prima di fare uso del medicamento. Questo medicamento le è stato prescritto personalmente e quindi non deve essere consegnato ad altre persone, anche se i sintomi sono gli stessi. Il medicamento potrebbe nuocere alla loro salute.

Conservi il foglietto illustrativo per poterlo rileggere all'occorrenza.

Casgevy 4 - 13 × 10⁶ cellule/ml dispersione per infusione

Vertex Pharmaceuticals (CH) GmbH

Che cos'è Casgevy e quando si usa?

Su prescrizione medica.

Che cos'è Casgevy

Casgevy è un medicamento di terapia genica che contiene il principio attivo exagamglogene autotemcel.

Casgevy è prodotto specificamente per lei utilizzando le sue cellule staminali del sangue. Le cellule staminali del sangue possono trasformarsi in altre cellule del sangue, tra cui globuli rossi, globuli bianchi e piastrine. Queste cellule vengono prelevate dal suo sangue, poi geneticamente modificate e reinfuse nel suo organismo sotto forma di trapianto in ospedale.

Per cosa è utilizzato Casgevy

Casgevy è usato per il trattamento di:

- **persone di età pari o superiore a 12 anni affette da beta-talassemia** che necessitano di trasfusioni di sangue regolari (talassemia trasfusione-dipendente). Le persone affette da talassemia trasfusione-dipendente non producono quantità sufficienti di emoglobina, una proteina presente nel sangue che trasporta l'ossigeno nell'organismo, a causa di un difetto nei geni. Questo causa anemia e tali persone necessitano di trasfusioni di sangue regolari.
- **Persone di età pari o superiore a 12 anni affette da anemia falciforme** che hanno frequenti crisi dolorose (chiamate crisi vaso-occlusive). I pazienti affetti da anemia falciforme hanno una forma di emoglobina (emoglobina falciforme o HbS) diversa da quella delle altre persone, a causa di un difetto nei geni. L'HbS provoca globuli rossi anomali, a forma di falce, che si attaccano tra loro e non riescono a muoversi facilmente nei vasi sanguigni. Ciò può provocare un blocco dei vasi sanguigni, causando crisi vaso-occlusive.

Come agisce Casgevy

Casgevy agisce aumentando la produzione di un tipo particolare di emoglobina, chiamata emoglobina F (*emoglobina fetale* o HbF). Una maggiore quantità di HbF migliora la produzione e la funzionalità dei globuli rossi. Per questo motivo, le persone affette da talassemia trasfusione-dipendente possono non necessitare di trasfusioni di sangue e le persone con anemia falciforme possono non manifestare crisi vaso-occlusive.

Di che cosa occorre inoltre tener conto durante il trattamento?

Avvertenze e misure precauzionali

Si rivolga al suo medico o all'infermiere prima di ricevere Casgevy.

Prima del trattamento con Casgevy:

- Riceverà **altri due tipi di medicinali** prima della somministrazione di Casgevy. Per maggiori informazioni su questi medicinali, cfr. «Come usare Casgevy?».



- **Medicamento(i) per la mobilitazione**, per il trasporto delle cellule staminali del sangue dal midollo osseo nella circolazione sanguigna, in modo che possano essere raccolte per la produzione di Casgevy. Questa procedura richiederà 2 - 6 giorni.
- **Il medicamento per il condizionamento** le viene somministrato poco prima di ricevere Casgevy. Ciò crea spazio nel midollo osseo perché le nuove cellule del sangue possano crescere dopo il trattamento con Casgevy.
- Il medico discuterà le **possibili conseguenze del medicamento per il condizionamento sulla fertilità**. Cfr. di seguito la rubrica «Si può usare Casgevy durante la gravidanza o l'allattamento?»
- Nelle persone affette da anemia falciforme può essere più difficile spostare le cellule staminali del sangue dal midollo osseo, e quindi raccogliere, rispetto alle persone affette da talassemia trasfusione-dipendente. Pertanto, le persone con anemia falciforme possono richiedere più cicli di mobilitazione e raccolta rispetto alle persone con talassemia trasfusione-dipendente.

Dopo il trattamento con Casgevy:

- Avrà un minore numero di cellule del sangue per un certo periodo, fino a quando Casgevy attecchisce nel midollo osseo. Questo comprende:
 - Bassi livelli di piastrine (cellule che favoriscono la coagulazione del sangue). Bassi livelli di piastrine possono causare sanguinamento.
Informi immediatamente il suo medico se ha uno qualsiasi di questi segni di bassi livelli di piastrine: forte mal di testa, comparsa anomala di lividi, sanguinamento prolungato, o sanguinamento in assenza di lesioni, ad esempio sanguinamento dal naso, sanguinamento dalle gengive, presenza di sangue nelle urine, nelle feci o nel vomito, o tosse con sangue.
 - Bassi livelli di neutrofili (un tipo di globuli bianchi che in genere prevengono le infezioni). Bassi livelli di neutrofili possono aumentare le probabilità di infezione.
Informi immediatamente il suo medico se ha uno qualsiasi di questi segni di bassi livelli di globuli bianchi: febbre, brividi o altri segni di infezione, come mal di gola, tosse o respiro affannoso, dolore o bruciore nell'urinare o necessità di urinare più spesso, o diarrea.
- Il suo medico monitorerà i livelli delle cellule nel sangue e le prescriverà un trattamento, se necessario. Il medico la informerà quando le piastrine e i neutrofili ritornano a livelli sicuri.
- Il medico monitorerà i livelli di cellule del sangue e il suo stato di salute generale per aiutare i ricercatori a comprendere gli effetti a lungo termine di Casgevy.
- In alcuni pazienti, i livelli di emoglobina possono essere inferiori a quelli normalmente previsti in base all'età e al sesso.
- Dopo il trattamento con Casgevy esiste il rischio teorico di tumori del sangue (mielodisplasia, leucemia o linfoma), anche se ciò non è stato osservato negli studi clinici condotti con Casgevy. Il suo medico la sottoporrà a controlli almeno una volta all'anno per un minimo di 15 anni, per rilevare eventuali segni di tumori del sangue.
- I componenti di Casgevy chiamati dimetilsolfossido (DMSO), destrano 40 e Cas9 possono causare reazioni allergiche gravi. Il suo medico o l'infermiere la terrà sotto controllo per rilevare eventuali segni e sintomi di una reazione allergica sia durante sia dopo il trattamento con Casgevy. Cfr. anche «Casgevy contiene sodio e dimetilsolfossido (DMSO)» nella rubrica «Quando è richiesta prudenza nell'uso di Casgevy?»
- Casgevy è sottoposto a test per rilevare la presenza di microbi infettivi, ma un piccolo rischio di infezione rimane. Il suo medico o l'infermiere la terrà sotto controllo per rilevare eventuali segni e sintomi di infezioni e le fornirà un trattamento, se necessario.
- Dopo il trattamento con Casgevy, **non deve donare** sangue, organi, tessuti o cellule.
- Casgevy è prodotto utilizzando le sue cellule ed è somministrato soltanto a lei. Le informazioni sui medicinali a base di cellule devono essere conservate per 30 anni presso l'ospedale in cui lei ha ricevuto il trattamento. Le informazioni conservate comprenderanno il suo nome, il nome del medicamento e il numero del lotto o dei lotti di Casgevy che ha ricevuto.



Se il trattamento con Casgevy non può essere completato o fallisce

Se Casgevy non può essere somministrato dopo il medicamento per il condizionamento, o se le cellule staminali del sangue modificate non attecchiscono nell'organismo, il medico può decidere di somministrarle in una vena un'iniezione che contiene le sue cellule di salvataggio (le sue cellule staminali del sangue originarie e non trattate) che sono state raccolte e conservate prima dell'inizio del trattamento (cfr. la rubrica «Come usare Casgevy?»). Se riceve le cellule di salvataggio, lei non avrà alcun beneficio dal trattamento e continuerà a necessitare di trattamento per la talassemia trasfusione-dipendente o l'anemia falciforme.

Quando non si può usare Casgevy?

Non deve ricevere Casgevy:

- **se è allergico a exagamglogene autotemcel** o ad uno qualsiasi degli altri componenti di questo medicamento (cfr. «Cosa contiene Casgevy?»);
- **se è allergico ad uno qualsiasi dei componenti** dei medicinali che riceverà per prepararla al trattamento con Casgevy (cfr. «Come usare Casgevy?»).

Informi immediatamente il suo medico se rientra in uno di questi casi o in caso di dubbi. Il trattamento non le sarà somministrato se lei è allergico a uno qualsiasi di questi medicinali.

Quando è richiesta prudenza nell'uso di Casgevy?

Altri medicinali e Casgevy

Informi il suo medico o l'infermiere se sta assumendo, ha recentemente assunto o potrebbe assumere qualsiasi altro medicamento.

Non prenda medicinali che eliminano il ferro dall'organismo (agenti chelanti, come deferoxamina, deferiprone e/o deferasirox) per almeno 7 giorni prima di ricevere il medicamento per il condizionamento. Il suo medico la informerà se e quando lei può iniziare ad assumere questi medicinali dopo il trattamento con Casgevy.

Non prenda altri medicinali per l'anemia falciforme (ad esempio idrossiurea/idrossicarbamide, crizanlizumab o voxelotor) per almeno 8 settimane prima di ricevere i medicinali per la mobilizzazione e il condizionamento. Il suo medico la informerà se e quando lei deve iniziare ad assumere questi medicinali dopo il trattamento con Casgevy.

I vaccini chiamati “vaccini vivi” non devono essere somministrati per 6 settimane prima del medicamento di condizionamento utilizzato per la preparazione al trattamento con Casgevy, né dopo il trattamento mentre il suo sistema immunitario (le difese dell'organismo) è in fase di recupero. Consulti il suo medico se deve sottoporsi a vaccinazioni.

Capacità di condurre un veicolo e la capacità di utilizzare attrezzi o macchine

Il medicamento per la mobilizzazione e i medicinali per il condizionamento usati prima del trattamento con Casgevy possono causare capogiro e stanchezza. Se avverte capogiro, stanchezza o malessere, non guidi veicoli, non utilizzi macchine e non svolga attività che richiedono attenzione.

Destrani

Questo medicamento contiene destrano 40. I destrani possono causare gravi reazioni allergiche improvvise con sintomi quali difficoltà a respirare, gonfiore, sensazione di testa leggera, battito del cuore accelerato, sudorazione e perdita di coscienza. Contatti immediatamente il medico se si presenta uno qualsiasi di questi sintomi.

Casgevy contiene sodio e dimetilsolfossido (DMSO)

Questo medicamento contiene circa 5,3 - 70 mg di sodio (componente principale del sale da cucina) per flaconcino. Questo equivale a 0,3 - 4% dell'assunzione massima giornaliera raccomandata con la dieta di un adulto. Il numero totale di flaconcini che costituiscono una dose varia a seconda del paziente.



Questo medicamento contiene circa 50 mg di DMSO per ml. Cfr. «Di che cosa occorre inoltre tener conto durante il trattamento?».

Potassio

Questo medicamento contiene 3 mg – 40 mg di potassio per flaconcino. Da tenere in considerazione in pazienti con ridotta funzionalità renale o in pazienti che seguono una dieta a basso contenuto di potassio. Può causare dolore nel sito di iniezione.

Informi il suo medico o il suo farmacista nel caso in cui:

- soffre di altre malattie,
- soffre di allergie o
- assume altri medicamenti (anche acquistati di sua iniziativa).

Si può usare Casgevy durante la gravidanza o l'allattamento?

Gravidanza

Questo trattamento non deve essere somministrato durante la gravidanza a causa dei possibili effetti del medicamento per il condizionamento. Gli effetti di Casgevy nelle donne in gravidanza non sono noti. Consulti il suo medico riguardo alla gravidanza dopo avere ricevuto Casgevy.

Se è in corso una gravidanza o se sospetta una gravidanza dopo il trattamento con Casgevy, **si rivolga immediatamente al suo medico.**

Se è una donna in età fertile, **sarà sottoposta a un test di gravidanza** prima di iniziare i medicamenti per la mobilizzazione e il condizionamento, per escludere un'eventuale gravidanza.

Contraccezione negli uomini e nelle donne

Se è una donna in età fertile o un uomo in grado di concepire, **deve usare un metodo contraccettivo efficace** dall'inizio del trattamento di mobilizzazione e **per almeno 6 mesi** dopo avere ricevuto Casgevy. Consulti il suo medico riguardo ai metodi contraccettivi appropriati.

Allattamento

L'allattamento deve essere interrotto durante il condizionamento a causa dei possibili effetti del medicamento per il condizionamento. Non è noto se i componenti di Casgevy possano passare nel latte materno. Il suo medico discuterà con lei il beneficio dell'allattamento per il suo bambino rispetto ai potenziali rischi del trattamento.

Fertilità negli uomini e nelle donne

È possibile che lei non possa iniziare una gravidanza o concepire un figlio dopo avere ricevuto il medicamento per il condizionamento. **Deve discutere le opzioni disponibili con il suo medico prima del trattamento.** Queste possono comprendere la conservazione del materiale riproduttivo (ad esempio ovuli, sperma) da utilizzare in un momento successivo.

Come usare Casgevy?

Casgevy è somministrato una sola volta.

Casgevy può essere somministrato solo in un centro di trattamento autorizzato (ospedale specializzato) da medici esperti nel trapianto di cellule staminali e nel trattamento di pazienti con patologie ematologiche, come la talassemia trasfusione-dipendente e l'anemia falciforme.

FASE 1: prima del trattamento con Casgevy, il medico le somministrerà un **medicamento per la mobilizzazione**. Questo medicamento trasporta le cellule staminali del sangue dal midollo osseo nella circolazione sanguigna. Le cellule vengono poi raccolte in una macchina che separa le diverse cellule del sangue (questa procedura si chiama *afèresi*). L'intera fase può svolgersi più di una volta. Ciascuna fase di raccolta richiede circa una settimana.



Inoltre, vengono raccolte anche le «**cellule di salvataggio**», che sono conservate presso l'ospedale. Si tratta delle stesse cellule staminali prelevate dal suo sangue che vengono conservate senza essere trattate, nel caso in cui vi sia un problema nella procedura. Cfr. «*Se il trattamento con Casgevy non può essere completato o fallisce*» nella rubrica «Di che cosa occorre inoltre tener conto durante il trattamento».

FASE 2: le cellule staminali del sangue saranno inviate al sito di produzione e **utilizzate per produrre Casgevy**. Possono essere necessari fino a 6 mesi dal momento della raccolta delle cellule per produrre e testare Casgevy, prima che il medicamento venga rispedito al suo medico.

FASE 3: poco prima del trapianto delle cellule staminali, il medico le somministrerà un **medicamento per il condizionamento** in ospedale. Questa fase richiederà da 2 a 6 giorni circa e la preparerà per il trattamento, rimuovendo le cellule dal midollo osseo affinché possano essere sostituite dalle cellule modificate contenute in Casgevy. Dopo la somministrazione di questo medicamento, il numero di cellule del sangue scenderà a livelli molto bassi (cfr. «Quali effetti collaterali può avere Casgevy?»). A questo punto, lei resterà in ospedale fino a dopo l'infusione di Casgevy.

FASE 4: uno o più flaconcini di Casgevy le saranno somministrati come iniezione in una vena mediante un catetere venoso centrale. I cateteri venosi centrali sono tubicini sottili flessibili, che vengono inseriti dal medico in una grande vena per accedere alla circolazione sanguigna. I rischi associati ai cateteri sono infezioni e formazione di coaguli di sangue. Il medico e gli infermieri la terranno sotto osservazione per rilevare eventuali complicazioni dovute al catetere venoso centrale. Possono essere necessarie alcune ore per somministrare tutte le iniezioni. Dopo avere ricevuto Casgevy, resterà in ospedale in modo che l'équipe sanitaria possa monitorare da vicino il suo recupero. Questo potrà richiedere circa 2 mesi, ma i tempi possono variare. Il medico deciderà quando lei potrà tornare a casa.

Bambini di età inferiore a 12 anni

Casgevy non deve essere somministrato ai bambini di età inferiore a 12 anni. Non è ancora noto se Casgevy sia sicuro ed efficace in bambini di questa età.

Pazienti di età superiore a 35 anni

Casgevy non è stato studiato in pazienti di età superiore a 35 anni.

Quali effetti collaterali può avere Casgevy?

Come tutti i medicinali, questo medicamento può causare effetti indesiderati sebbene non tutte le persone li manifestino. Si rivolga al suo medico o all'infermiere per i possibili effetti collaterali.

Alcuni effetti collaterali sono correlati al medicamento per la mobilitazione e al medicamento per il condizionamento. Deve leggere i foglietti illustrativi anche di questi medicinali.

I seguenti effetti collaterali gravi possono verificarsi entro i primi giorni o le prime settimane dopo il trattamento, ma anche molto tempo dopo.

- Dolore nella parte superiore destra dell'addome, sotto le costole, ingiallimento degli occhi o della pelle, rapido aumento di peso, gonfiore delle braccia, delle gambe e dell'addome e difficoltà a respirare.

Questi possono essere segni di una grave malattia del fegato, chiamata malattia veno-occlusiva.

- Forte mal di testa, comparsa anomala di lividi, sanguinamento prolungato, o sanguinamento in assenza di lesioni, ad esempio sanguinamento dal naso, sanguinamento dalle gengive, presenza di sangue nelle urine, nelle feci o nel vomito, o tosse con sangue.

Questi possono essere segni di trombocitopenia, bassi livelli di piastrine, che può ridurre la capacità di coagulazione del sangue e può provocare sanguinamento.

- Febbre, brividi o infezioni.

Questi possono essere segni di neutropenia, bassi livelli di globuli bianchi chiamati neutrofili che combattono le infezioni.

Informi immediatamente il suo medico se si manifesta uno degli effetti collaterali sopra elencati.



Altri effetti collaterali che si verificano con il medicamento per la mobilizzazione e la raccolta di cellule:

Molto comune (riguarda più di 1 persona su 10)

- sensazione di star male (nausea)
- vomito
- mal di testa
- mal di pancia
- dolore ai muscoli o alle ossa

Comune (riguarda da 1 a 10 persone su 100)

- malattia polmonare, con sintomi di dolore al torace improvviso, febbre, respirazione difficoltosa e segni di accumulo di liquido nei polmoni rilevati alla radiografia toracica, che si verifica nell'anemia falciforme (sindrome toracica acuta)
- crisi falciforme dolorosa (anemia falciforme con crisi)
- febbre
- livelli elevati di globuli bianchi (leucocitosi)
- diarrea
- dolore alla bocca e alla gola
- intorpidimento nella bocca
- dolore alle articolazioni
- dolore generale
- sensazione di stanchezza
- bassi livelli di potassio nel sangue (ipokaliemia)
- bassi livelli di magnesio nel sangue (ipomagnesiemia)
- alti livelli di fosfato nel sangue (iperfosfatemia)

Altri effetti collaterali che si verificano con il medicamento per il condizionamento:

Molto comune (riguarda più di 1 persona su 10)

- febbre in presenza di bassi livelli di neutrofili (un tipo di globuli bianchi) (neutropenia febbrile)
- bassi livelli di globuli rossi (anemia)
- bassi livelli di linfociti, un tipo di globuli bianchi (linfopenia)
- bassi livelli di globuli bianchi (leucopenia)
- bassi livelli di potassio nel sangue (ipokaliemia)
- alti livelli di fosfato nel sangue (iperfosfatemia)
- bassi livelli di magnesio nel sangue (ipomagnesiemia)
- bassi livelli di fosfato nel sangue (ipofosfatemia)
- ritenzione di liquidi
- mal di testa
- febbre
- sensazione di stanchezza
- sanguinamento dal naso



- sensazione di star male (nausea)
- vomito
- mal di pancia
- infiammazione del rivestimento dello stomaco
- stitichezza
- diarrea
- dolore alla bocca e alla gola
- infiammazione delle mucose, ad esempio gengive (mucosite)
- appetito ridotto
- perdita di peso
- dolore ai muscoli o alle ossa
- pelle secca
- desquamazione della pelle
- alterazione del colore della pelle e delle unghie
- minuscole macchie di sangue sotto la pelle
- eruzione cutanea
- perdita di capelli (alopecia)
- alti livelli di bilirubina nel sangue, un prodotto della degradazione dei globuli rossi, nel sangue, che possono causare ingiallimento della pelle e degli occhi (iperbilirubinemia)
- aumento dei livelli di un enzima del fegato (alanina aminotransferasi) nel sangue
- mancate mestruazioni

Comune (riguarda da 1 a 10 persone su 100)

- sintomi simili a un'infezione polmonare, come febbre, brividi, tosse e problemi di respirazione, che si verificano senza segni di infezione nel polmone (sindrome della polmonite idiopatica)
- incapacità dei polmoni di apportare ossigeno al sangue (insufficienza respiratoria)
- respirazione difficoltosa
- infezione nel sangue (sepsi)
- infezione nel sangue causata dai batteri *Klebsiella* (sepsi da *Klebsiella*)
- infezione del polmone (infezione polmonare)
- infezione della bocca causata da un fungo (candidiasi orale)
- infezione dei follicoli piliferi (follicolite)
- aumento del battito cardiaco (tachicardia)
- aumento dei livelli di enzimi del fegato (aspartato aminotransferasi, gamma-glutamilttransferasi) nel sangue
- bassa pressione sanguigna (ipotensione)
- bassi livelli di ossigeno nel sangue (ipossia)
- ingrossamento del fegato
- ingrossamento della milza
-



danno di un nervo nelle braccia e/o nelle gambe che causa dolore o intorpidimento, bruciore e formicolio (neuropatia periferica)

- problemi ai nervi che causano dolore o intorpidimento, bruciore e sensazione di formicolio (neuropatia sensitiva periferica)
- dolore nervoso
- problemi con il senso del gusto
- vista offuscata
- occhi secchi
- vampate di calore
- tosse
- indigestione
- malattia in cui l'acido gastrico risale dallo stomaco e penetra nell'esofago (malattia da reflusso gastroesofageo)
- sanguinamento delle gengive
- mal di gola
- difficoltà a deglutire
- infiammazione dell'intestino crasso, che causa dolore e diarrea (colite)
- infiammazione dell'esofago (esofagite)
- presenza di sangue nel vomito
- sanguinamento rettale
- infiammazione dello stomaco e dell'intestino
- ulcere alla bocca
- dolore generale
- dolore nell'urinare
- presenza di sangue nelle urine
- sanguinamento tra i cicli mestruali
- mestruazioni irregolari
- dolore alla vulva e alla vagina
- menopausa precoce
- aumento di peso
- lividi
- sensazione di prurito
- arrossamento della pelle
- tagli o graffi sulla pelle
- bassi livelli di tutti i tipi di cellule del sangue (pancitopenia)
- bassi livelli di reticolociti, un tipo di globuli rossi immaturi (reticolocitopenia)
- sanguinamento in un'area del cervello coinvolta nell'equilibrio e nella coordinazione (emorragia cerebellare)
- accumulo anomalo del liquido che circonda il cervello e il midollo spinale (idrocefalo)
- bassi livelli di *albumina*, una proteina del sangue (ipoalbuminemia)



- bassi livelli di calcio nel sangue (ipocalcemia)
- dolore alle articolazioni
- prolungamento del tempo di coagulazione del sangue
- livello più elevato di un indicatore di infiammazione (proteina C-reattiva)
- prolungamento del tempo necessario perché le cellule trapiantate inizino a crescere e a produrre cellule del sangue normali (attecchimento dei neutrofili ritardato)

Altri effetti collaterali che si verificano con Casgevy:

Comune (riguarda da 1 a 10 persone su 100)

- disturbo del sistema immunitario (linfocitopenia emofagocitica) in cui alcuni tipi di globuli bianchi (linfociti e monociti) si accumulano negli organi, causando un eccesso di infiammazione e distruzione dei tessuti. I sintomi possono comprendere febbre non dovuta a infezione e che non risponde agli antibiotici, ingrossamento del fegato e/o della milza, eruzione cutanea, problemi di respirazione, facile comparsa di lividi, pressione sanguigna bassa, anomalie renali e problemi al cuore
- respirazione difficoltosa, che potrebbe richiedere ossigeno per aiutarla a respirare, a volte accompagnata da dolore al torace, febbre, brividi o tosse (sindrome da distress respiratorio acuto)
- sintomi simili a un'infezione polmonare, come febbre, brividi, tosse e problemi di respirazione, che si verificano senza segni di infezione nel polmone (sindrome della polmonite idiopatica)
- aumento del battito cardiaco (tachicardia)
- bassi livelli di globuli rossi (anemia)
- bassi livelli di globuli bianchi (leucopenia)
- bassi livelli di calcio nel sangue (ipocalcemia)
- mal di testa
- sensazione simile a intorpidimento, formicolio, pizzicore (parestesia)
- sanguinamento dal naso
- eruzione cutanea
- minuscole macchie di sangue sotto la pelle
- febbre
- brividi
- prolungamento del tempo necessario perché le cellule trapiantate inizino a crescere e a produrre cellule del sangue normali (attecchimento dei neutrofili ritardato)
- eventi quali brividi e aumento del battito cardiaco al momento della somministrazione di Casgevy (reazioni correlate a infusione)

Informi il suo medico o l'infermiere se si manifesta uno di questi effetti collaterali. **Informi immediatamente il suo medico o l'infermiere** se uno qualsiasi di questi effetti collaterali peggiora.

Se osserva effetti collaterali, si rivolga al suo medico o al suo farmacista, soprattutto se si tratta di effetti collaterali non descritti in questo foglietto illustrativo.

Di che altro occorre tener conto?

Stabilità

Il medicamento non dev'essere utilizzato oltre la data indicata con «EXP» sul contenitore e su ciascun flaconcino.

Istruzioni di conservazione

Le seguenti informazioni sono destinate esclusivamente ai medici e agli infermieri.



Questo medicamento le sarà somministrato da un medico o un infermiere qualificato, che è responsabile della corretta conservazione del medicamento, prima e dopo l'uso, e del suo corretto smaltimento.

Tenere fuori dalla portata dei bambini.

Conservare in congelatore, a una temperatura pari o inferiore a -135°C . Conservare il(i) flaconcino(i) nella scatola originale fino al momento dello scongelamento. Scongelare un flaconcino alla volta. Non scongelare fino al momento dell'infusione. Non ricongelare dopo lo scongelamento. Dopo lo scongelamento, conservare a temperatura ambiente (20°C - 25°C) e infondere entro 20 minuti.

Questo medicamento contiene cellule ematiche umane. Il medicamento non utilizzato deve essere smaltito in conformità alle linee guida locali sulla gestione di materiali di origine umana.

Ulteriori indicazioni

Il medico o il farmacista, che sono in possesso di un'informazione professionale dettagliata, possono darle ulteriori informazioni.

Cosa contiene Casgevy?

Principi attivi

Exagamglogene autotemcel.

Sostanze ausiliarie

Le sostanze ausiliarie sono una soluzione utilizzata per conservare le cellule congelate, che contiene sodio, dimetilsolfossido (DMSO) e destrano 40. Cfr. la rubrica «Di che cosa occorre inoltre tener conto durante il trattamento?».

Numero dell'omologazione

68978 (Swissmedic).

Dove è ottenibile Casgevy? Quali confezioni sono disponibili?

Casgevy le sarà somministrato direttamente dal suo medico.

Ogni ml di Casgevy contiene $4 - 13 \times 10^6$ cellule (cellule staminali del sangue).

Casgevy è una dispersione per infusione semi-trasparente. Casgevy è fornito in flaconcini contenenti da 1,5 a 20 ml. Uno o più flaconcini sono confezionati in una scatola di cartone. Una confezione può contenere fino a 9 flaconcini. Il numero di flaconcini è specifico per la dose di ciascun paziente. La sua dose può essere costituita da più flaconcini e confezioni.

Il suo nome e la sua data di nascita, oltre alle informazioni codificate che la identificano come destinatario previsto, sono stampati su ciascuna confezione e su ciascun flaconcino.

Titolare dell'omologazione

Vertex Pharmaceuticals (CH) GmbH

6300 Zug

Questo foglietto illustrativo è stato controllato l'ultima volta nel settembre 2026 dall'autorità competente in materia di medicinali (Swissmedic).

