



Terveydenhuollon ammattilaisen opas Zolgensma[®]-hoidon (onasemnogeneeniabeparvovekki) riskien minimointiin

Tämä opas on laadittu Zolgensmaa määräävien ja jakelevien sekä sitä antavien terveydenhuollon ammattilaisten tueksi. Opas sisältää ohjeita Zolgensma-hoidon turvallisuusprofiiliin kannalta keskeisten maksatoksisuuden ja tromboottisen mikroangiopatian suhteen, ja auttaa ennaltaehkäisemään ja lieventämään mahdollisia riskejä ennen hoitoa, hoidon aikana ja sen jälkeen. Opasta tulee lukea yhdessä valmisteyhteenvedon kanssa.

Zolgensma on tarkoitettu:

- 5q spinaalista lihasatrofiaa (SMA) sairastavien potilaiden hoitoon, joilla on *SMN1*-geenin bialeelinen mutaatio ja tyypin 1 SMA:n kliininen diagnoosi, tai
- 5q spinaalista lihasatrofiaa (SMA) sairastavien potilaiden hoitoon, joilla on *SMN1*-geenin bialeelinen mutaatio ja enintään kolme *SMN2*-geenin kopiota.

Zolgensma-hoito on annettava kliinisissä keskuksissa SMA-potilaiden hoitoon perehtyneen lääkärin valvonnassa.

▼ Tähän lääkevalmisteeseen kohdistuu lisäseuranta. Tällä tavalla voidaan havaita nopeasti turvallisuutta koskevaa uutta tietoa. Terveydenhuollon ammattilaisia pyydetään ilmoittamaan epäilyistä lääkkeen haittavaikutuksista.

Jos sinulla on kysyttävää tai huolenaiheita koskien Zolgensmaa, ota yhteyttä Novartis-yhteyshenkilöön.

SMA, spinaalinen lihasatrofia; SMN, survival motor neuron

Osa riskienhallintasuunnitelmaa v4.0. Fimean hyväksymispäivämäärä: 15.08.2024.

FA-11274064_23092024

Kiitos, että luet tämän oppaan. Oppaan tarkoituksena on vähentää riskejä ennen Zolgensma-hoidon aloittamista, infuusion ajankohtana ja infuusion jälkeen. Oppaassa keskitytään seuraaviin turvallisuutta koskeviin aiheisiin:

- Maksatoksisuus
- Tromboottinen mikroangiopatia

Jos sinulla on kysyttävää tai huolenaiheita koskien Zolgensmaa, katso lisätietoja valmisteyhteenvedosta tai ota yhteyttä Novartis-yhteyshenkilöön.

Hyödylliset yhteystiedot

Oppaan sisältö

Zolgensma-hoidon riskien ymmärtäminen	4
• Maksatoksisuus	4
• Tromboottinen mikroangiopatia	4
• Muut varoitukset	5
 Zolgensma-hoidon riskien ennaltaehkäiseminen ja lieventäminen	 6
• Ennen hoidon aloittamista	6
• Infuusion aikaan	10
• Infuusion jälkeen ja seurannan aikana	13
 Verikokeiden aikataulu	 16
 Tarkistuslista	 19

Zolgensma-hoidon riskien ymmärtäminen

Tärkeää tietoa turvallisuudesta

Alla esitetään Zolgensma-hoidon jälkeen havaittuja merkittäviä riskejä. Katso kaikki turvallisuutta ja lääkkeen määräämistä koskevat tiedot valmisteyhteenvedosta, jossa kerrotaan myös muista Zolgensmaa koskevista varoituksista ja käyttöön liittyvistä varotoimista.



Maksatoksisuus

Immuunivälitteinen maksatoksisuus Zolgensma-hoidon jälkeen ilmenee yleensä kohonneina alaniiniaminotransferaasi- (ALAT) ja/tai aspartaattiaminotransferaasi- (ASAT) pitoisuuksina.

Zolgensma-hoidon jälkeen on raportoitu akuuttia vakavaa maksavauriota ja akuuttia maksan vajaatoimintaa, mukaan lukien kuolemaan johtaneita tapauksia. Tapaukset ovat tyypillisesti ilmaantuneet 2 kuukauden kuluessa infuusiosta siitä huolimatta, että potilas on saanut kortikosteroidihoitoa ennen infuusiota ja sen jälkeen.

Maksatoksisuus voi vaatia immunomodulatorisen hoito-ohjelman muokkaamista esimerkiksi hoidon kestoa pidentämällä, annosta suurentamalla tai kortikosteroidiannoksen asteittaiseen pienentämiseen käytettävää aikajaksoa pidentämällä.



Tromboottinen mikroangiopatia

Zolgensma voi lisätä tromboottisen mikroangiopatian (TMA) riskiä, yleensä 2 ensimmäisen viikon aikana hoidon jälkeen.

TMA on akuutti ja hengenvaarallinen tila, jolle on ominaista trombosytopenia, mikroangiopaattinen hemolyyttinen anemia ja akuutti munuaisvaurio. Zolgensma-hoidon yhteydessä on havaittu kuolemaan johtaneita tapauksia. Samanaikaisesti tapahtuvan immuunijärjestelmän aktivoitumisen (esim. infektioiden tai rokotusten aiheuttamana) on myös raportoitu olevan mahdollinen laukaiseva tekijä.

Jos potilailla on TMA:han viittaavia klinisiä oireita tai löydöksiä tai laboratoriotuloksia, on välittömästi otettava yhteyttä erikoislääkäriin TMA:n hoitamiseksi kliinisesti tarkoituksenmukaisella tavalla.

Katso valmisteyhteenvedon kohdasta 4.4 lisätietoja Zolgensman käyttöä koskevista varoituksista ja varotoimista.





Zolgensma-hoitoa koskevia muita varoituksia ja varotoimia ovat muun muassa:

- **Trombosytopenia**
 - Zolgensman kliinisissä tutkimuksissa havaittiin ohimenevää verihiutaleiden määrän laskua, joista osa täytti trombosytopenian kriteerit
- **Kohonnut troponiini-I-taso**
 - Kohonneita sydämen troponiini-I-proteiinin tasoja on havaittu Zolgensma-infuusion jälkeen

Huomioithan, että Zolgensma-hoitoa koskevat lisävaroitukset ja varotoimet eivät rajoitu tässä oppaassa mainittuihin. Kaikki Zolgensma-hoitoa koskevat turvallisuustiedot löytyvät valmisteyhteenvedosta tai Novartis-yhteyshenkilöltä.

Zolgensma-hoidon riskien ennaltaehkäiseminen ja lieventäminen

1. Ennen hoidon aloittamista

Kerro huoltajille Zolgensmaan liittyvistä tärkeimmistä riskeistä ja niihin liittyvistä oireista ja löydöksistä, mukaan lukien, mutta ei niihin rajoittuen TMA, maksan vajaatoiminta ja trombositopenia.



Verikokeet

Vasta-aineita adenoassosioituneen viruksen serotyyppiä 9 (AAV9) kohtaan voi muodostua luonnollisen altistumisen myötä.

Potilaat on testattava AAV9-vasta-aineiden olemassaolon varalta ennen hoitoa asianmukaisesti validoidulla määrittelyksellä.

Vielä ei tiedetä, voidaanko Zolgensmaa antaa turvallisesti ja tehokkaasti tai millaisissa olosuhteissa sitä voitaisiin antaa, mikäli AAV-9 vasta-aineet ovat yli 1:50. Jos AAV9-vasta-ainetitterin ilmoitetaan olevan yli 1:50, voidaan tehdä uusintatesti.

Ennen Zolgensman antoa on lisäksi suoritettava ainakin seuraavat lähtötilanteen laboratoriotutkimukset:

- Maksan toimintakokeet: ALAT, ASAT, kokonaisbilirubiini, albumiini, protrombiiniaika, osittainen tromboplastiiniaika (PTT) ja INR-arvo
- Kreatiniini
- Täydellinen verenk kuva (mukaan lukien hemoglobiini- ja trombositariavot)
- Troponiini-I

Säännöllisiä verikokeita on otettava vähintään 3 kuukauden ajan Zolgensma-infuusion jälkeen. Yksityiskohtainen verikokeiden aikataulu on tämän oppaan sivuilla 16-18.

Kerro huoltajille, että verinäytteitä täytyy ottaa säännöllisesti.

Huoltajille on kerrottava, että verikokeita on otettava vähintään 3 kuukauden ajan Zolgensma-hoidon jälkeen. Seurantaverikokeiden aikataulun noudattaminen on tärkeää mahdollisimman hyvän hoitotuloksen saavuttamiseksi. Verikokeiden päivämäärät ja kellonajat on sovittava ja varattava ennen hoitoa.

Kortikosteroidin annostelu

Zolgensman antamisen jälkeen syntyy immuunivaste AAV9-kapsidia kohtaan, josta seuraa:



maksan aminotransferaasien
kohoaminen



troponiini-I:n
kohoaminen



vähentynyt
verihiutaleiden määrä

Immuunivasteen vaimentamiseksi suositellaan immunomodulaatiota kortikosteroideilla.



Kortikosteroidihoito suositellaan aloitettavan 24 tuntia ennen Zolgensma-infusiota. Aluksi suositellaan seuraavanlaista lääkitystä:

Prednisoloni suun kautta 1 mg/kg/vrk (tai vastaava, jos käytetään muuta kortikosteroidia).

Kerro huoltajille kortikosteroidilääkityksen tärkeydestä.

Kerro huoltajille, että heidän on kiireellisesti ilmoitettava sinulle kaikista oksentelutapauksista, jotta varmistutaan, ettei potilaalta jää väliin kortikosteroidiannosta.

Zolgensma-hoidon riskien ennaltaehkäiseminen ja lieventäminen

1. Ennen hoidon aloittamista *(jatkuu)*



Yleinen terveys

Vakavan systeemisen immuunivasteen lisääntyneen riskin vuoksi suositellaan, että potilaiden yleisen terveydentilan tulisi olla kliinisesti vakaa, mukaan lukien nesteytys- ja ravitsemustila, eikä potilailla saisi olla infektioita.

Kerro huoltajille, että infektioiden ehkäisyyn, seurantaan ja hoitoon on kiinnitettävä erityistä huomiota ennen Zolgensma-infuusiota ja sen jälkeen.

- Kerro huoltajille infektiin viittaavista oireista. Jos potilaalla ilmenee oireita, on huoltajien otettava kiireellisesti yhteyttä sinuun.
- Huoltajien tulee ehkäistä infektoita välttämällä tilanteita, jotka voivat lisätä potilaan infektioriskiä; harjoittamalla hyvää käsihygieniää ja hyviä yskimis- ja aivastelukäytäntöjä; ja rajoittamalla kontaktien määrää.
- Kerro huoltajille/vanhemmille ympärileikkaukseen liittyvästä infektioriskistä. Leikkaukseen liittyvä infektioriski pienenee, kun leikkaus suoritetaan lääketieteellisiin toimenpiteisiin tarkoitetuissa tiloissa.

Jos potilaalla on akuutti tai krooninen hallitsematon aktiivinen infektio, hoitoa on lykättävä siihen asti, kunnes infektio on parantunut ja potilaan kliininen tila on vakaa.



Rokotusaikataulu

Potilaan rokotusohjelma on arvioitava ennen hoidon aloittamista.

Rokotusaikataulua on mahdollisuuksien mukaan muutettava siten, että se on yhteensopiva ennen Zolgensma-infuusiota ja sen jälkeen annettavan kortikosteroidihoidon kanssa.

RS-virustartunnan (RSV, respiratory syncytial virus) ennaltaehkäisy on suositeltavaa, ja sen tulisi olla ajan tasalla. Eläviä rokotteita, kuten tuhkarokko-sikotauti-vihurirokkorokotetta (MPR) ja vesirokkorokotetta, ei pidä antaa potilaille, jotka saavat immunosuppressiivista steroidiannosta.



Paino

Potilaat saavat Zolgensma-annoksen $1,1 \times 10^{14}$ vektorigenomia/kg. Potilaan saaman Zolgensma-annoksen kokonaismäärä määräytyy potilaan painon mukaan. Oikean annoksen varmistamiseksi potilas on punnittava ennen hoitoa.

Zolgensma-hoidon riskien ennaltaehkäiseminen ja lieventäminen

2. Infuusion aikaan



Yleinen terveys

Tarkista, onko potilaan yleinen terveydentila sopiva infuusion antamiseen (esim. infektioiden paraneminen) vai tuleeeko infuusion antamista siirtää.

Hoitoa ei pidä aloittaa ennen kuin infektio on parantunut, jos potilaalla on ollut joko akuutti (kuten akuutit hengitystieinfektiot tai akuutti hepatiitti) tai hallitsematon krooninen (kuten krooninen aktiivinen hepatiitti B) aktiivinen infektio. Jos potilaalla on infektiin viittaavia oireita tai löydöksiä, on hoitoa siirrettävä.

Jos potilaalla on akuutti tai krooninen hallitsematon aktiivinen infektio, hoitoa on siirrettävä, kunnes infektio on parantunut ja potilaan kliininen tila on vakaa.



Potilaan paino

Zolgensman annostelu perustuu potilaan painoon.

Jos Zolgensman tilauksen ja infuusion välillä on viivettä, potilas on punnittava uudelleen oikean Zolgensma-annoksen varmistamiseksi.

Ota välittömästi yhteyttä Novartikseen, jos olet huolissasi potilaan painon muutoksesta potilaan Zolgensma-annoksen tilaamisen jälkeen.





Kortikosteroidin annostelu

Tarkista, onko kortikosteroidihoito aloitettu 24 tuntia ennen Zolgensma-infusiota.

Immuunivasteen vaimentamiseksi potilaalle on täytynyt aloittaa immunomodulatorinen kortikosteroidihoito, jonka ensimmäinen annos on annettu 24 tuntia ennen Zolgensma-hoitoa. Zolgensma-hoidon päivänä potilaan on jatkettava hoitoa ja saatava alla mainittu kortikosteroidiannos:

Prednisoloni suun kautta 1 mg/kg/vrk (tai vastaava, jos käytetään muuta kortikosteroidia).

Immunomodulatorista hoitoa on jatkettava 30 päivän ajan (Zolgensma-infusion antopäivä mukaan lukien). Tämän jälkeen kortikosteroidiannosta pienennetään asteittain vähintään 28 päivän pituisen aikajakson kuluessa. Katso sivulta 13 ohjeet kortikosteroidien annostelusta infuusion jälkeen.

Zolgensma-hoidon riskien ennaltaehkäiseminen ja lieventäminen

2. Infuusion aikaan (jatkuu)



Zolgensma-infuusio

Zolgensma on tarkoitettu vain kerta-annoksena annettavaan laskimonsisäiseen infuusioon.

Zolgensma annetaan ruiskupumpulla hitaana kertainfuusiona, joka kestää noin 60 minuuttia. Varalle suositellaan toisen laskimonsisäisen yhteyden avaamista.

Voidaan antaa ainoastaan laskimonsisäisenä infuusiona. Ei saa antaa push- eikä bolusinjektiona laskimoon.

Infuusion päätyttyä letku on huuhdeltava suolaliuoksella.

Katso valmisteyhteenvedon kohta 4.2, jossa on tärkeitä tietoja Zolgensman annostelusta ja antamisesta.



Zolgensma sisältää muuntogeenisiä organismeja. Siksi Zolgensmaa käsitellessä tai annosteltaessa on noudatettava asianmukaisia varotoimia.

Yksityiskohtaiset ohjeet Zolgensman valmistelusta, käsittelystä, vahinkoaltistuksesta ja hävittämisestä (mukaan lukien kehon jätteiden asianmukainen käsittely) löytyvät valmisteyhteenvedosta.

3. Infuusion jälkeen

Kortikosteroidin annostelu Zolgensman annon jälkeen

Kortikosteroidihoitoa on jatkettava vähintään 2 kuukautta, eikä annosta saa pienentää ennen kuin ASAT/ALAT-arvot ovat alle 2 x normaalin ylärajan (ULN) ja kaikki muut tulokset esim. kokonaisbilirubiini, ovat palanneet normaaliarvoihin.

Jos potilaan maksaentsyymitasot eivät laske riittävän nopeasti, voidaan kortikosteroidihoitoa joutua jatkamaan pidempään, kunnes maksaentsyymitasot ovat laskeneet hyväksyttävälle tasolle. Kortikosteroidiannosta on pienennettävä hitaasti, kunnes hoito voidaan kokonaan lopettaa.



Prednisolonia annetaan suun kautta 1 mg/kg/vrk (tai vastaava määrä, jos käytetään muuta kortikosteroidia) 30 päivän ajan Zolgensman antopäivä mukaan lukien.

Maksan toiminta on tarkistettava 30 päivää kestäneen kortikosteroidihoitojakson lopussa.



Potilaat, joilla löydökset ovat tavanomaisia (kliinisen lääkärintutkimuksen tulokset ja kokonaisbilirubiini ovat normaalit, ALAT- ja ASAT-arvot ovat molemmat alle 2 x ULN 30 päivän jakson lopussa):

Pienennä prednisoloniannosta (tai vastaavaa) asteittain 28 päivän aikana.

- Esimerkiksi: anna prednisolonia suun kautta 2 viikon ajan 0,5 mg/kg/vrk ja sitten 2 viikon ajan 0,25 mg/kg/vrk.



Potilaat, joilla on maksan toimintahäiriöitä 30 päivän jakson lopussa:

Jatka prednisolonin käyttöä, kunnes ASAT- ja ALAT-arvot ovat alle 2 x ULN ja kaikki muut tulokset palautuvat normaalialueelle, minkä jälkeen annostelua jatketaan 28 päivän ajan tai tarvittaessa pidempään.

Jos potilaiden kliininen tila missä tahansa vaiheessa osoittaa, ettei vaste suun kautta annettavalle 1 mg/kg/vrk prednisolonille (tai vastaavalle hoidolle) ole riittävä, on viipymättä konsultoitava lasten gastroenterologia tai hepatologia. Suositellun immunomodulatorisen hoito-ohjelman muokkaamista on harkittava esimerkiksi hoidon kestoa pidentämällä, annosta suurentamalla tai kortikosteroidiannoksen asteittaiseen pienentämiseen käytettävää aikajaksoa pidentämällä.

Zolgensma-hoidon riskien ennaltaehkäiseminen ja lieventäminen

3. Infuusion jälkeen *(jatkuu)*

Säännölliset verikokeet

Potilaan tilaa on seurattava tiiviisti ja säännöllisesti (kliinisesti ja laboratoriokokein) vähintään 3 kuukauden ajan Zolgensma-infuusion jälkeen.



Maksan toimintaa (ALAT, ASAT, kokonaisbilirubiini) on seurattava säännöllisin väliajoin vähintään 3 kuukauden ajan Zolgensma-infuusion jälkeen.

Laboratoriokokeet on otettava:

- viikoittain ensimmäisen kuukauden ajan ja koko kortikosteroidihoidon ajan
- 2 viikon välein seuraavan kuukauden ajan
- muulloin kliinisen tarpeen mukaan.

Potilaat, joiden maksan toimintakokeiden tulokset huononevat ja/tai joilla on akuutin sairauden oireita tai löydöksiä, on arvioitava viipymättä ja heitä on seurattava tiiviisti.

Jos potilaat eivät saa vastetta kortikosteroidihoitoon tai jos epäillään maksavaurioita, konsultoi viipymättä lasten gastroenterologia tai hepatologia.



Verihutiutaleiden määrää on seurattava tiiviisti infuusion jälkeisten 3 viikon aikana ja säännöllisesti tämän jälkeen.

Zolgensma-hoidon jälkeen verihutiutaleiden määrää on seurattava:

- vähintään viikoittain ensimmäisen kuukauden ajan
- joka toinen viikko toisen ja kolmannen kuukauden ajan, kunnes verihutiutaleiden määrä palautuu lähtötasolle.

Jos epäillään TMA:ta, on konsultoitava erikoislääkäriä.



Troponiini-I-tasoa on seurattava vähintään 3 kuukauden ajan Zolgensma-infuusion jälkeen tai kunnes tasot palautuvat SMA-potilaiden normaalille viitealueelle.

Harkitse kardiologin konsultoimista tarvittaessa.



Ohimenevä erittyminen

Zolgensman ohimenevää erittymistä voi esiintyä, pääasiassa kehon jätteiden mukana, vähintään 1 kuukauden ajan Zolgensma-hoidon jälkeen.

Anna huoltajalle käytännön ohjeet kehon jätteiden hävittämisestä. Neuvoja on noudatettava vähintään 1 kuukauden ajan Zolgensma-hoidon jälkeen.



Käytä suojakäsineitä joutuessasi kosketuksiin kehon nesteiden tai jätteiden kanssa.



Pese kädet huolellisesti saippualla ja lämpimällä juoksevalla vedellä tai alkoholipohjaisella käsihuuhteella.



Käytä **kaksinkertaisia muovipusseja** likaisten vaippojen ja muun jätteen hävittämiseen.

Verikokeiden aikataulu: 1. kuukausi

Zolgensma-hoidon jälkeen (30 päivää)



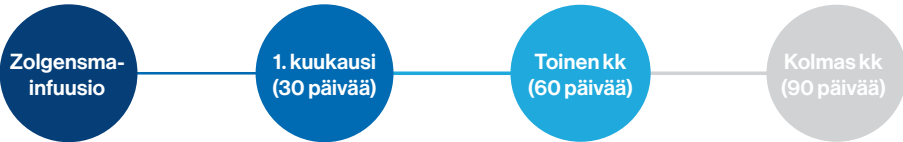
Verikokeet

Ensimmäisen kuukauden ajan Zolgensma-hoidon jälkeen potilaalta on otettava **viikoittain verikokeita maksan toiminnan ja verihiutaleiden määrän seuraamiseksi**. Troponiini-I-tasoja on seurattava vähintään 3 kuukauden ajan Zolgensma-infusion jälkeen tai kunnes tasot palautuvat SMA-potilaiden normaalille viitealueelle. Alla olevaa taulukkoa voidaan käyttää apuna verikokeiden aikataulua laadittaessa.

Viikkoja Zolgensma-hoidosta	Verikokeet
Troponiini-I (jos pitoisuudet eivät ole palautuneet SMA-potilaiden normaalille viitealueelle)	
Viikko 1	Maksan toiminta Verihiutaleiden määrä
Viikko 2	Maksan toiminta Verihiutaleiden määrä
Viikko 3	Maksan toiminta Verihiutaleiden määrä
Viikko 4	Maksan toiminta Verihiutaleiden määrä

Verikokeiden aikataulu: Toinen kuukausi

Zolgensma-hoidon jälkeen (60 päivää)



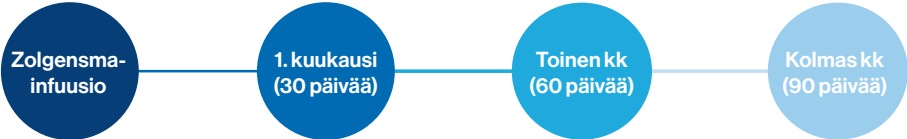
Verikokeet

Zolgensma-hoitoa seuraavan toisen kuukauden ajan ja koko kortikosteroidiannoksen pienentämiseen käytettävän aikajakson ajan tehdään **viikoittaisia verikokeita maksan toiminnan seuraamiseksi. Verihiutaleiden määrää on seurattava joka toinen viikko**, kunnes määrä palautuu lähtötasolle. Troponiini-I-pitoisuuksia on seurattava vähintään 3 kuukauden ajan Zolgensma-infusion jälkeen tai kunnes pitoisuudet palautuvat SMA-potilaiden normaalille viitealueelle. Alla olevaa taulukkoa voidaan käyttää apuna verikokeiden aikataulussa.

Viikkoja Zolgensma-hoidosta	Blood tests
Troponiini-I (jos pitoisuudet eivät ole palautuneet SMA-potilaiden normaalille viitealueelle)	
Viikko 5	Maksan toiminta
Viikko 6	Maksan toiminta Verihiutaleiden määrä (ellei ole palautunut lähtötasolle)
Viikko 7	Maksan toiminta
Viikko 8	Maksan toiminta Verihiutaleiden määrä (ellei ole palautunut lähtötasolle)

Verikokeiden aikataulu: Kolmas kuukausi

Zolgensma-hoidon jälkeen (90 päivää)



Verikokeet

Zolgensma-hoidon jälkeisen kolmannen kuukauden aikana on otettava säännöllisesti verikokeita maksan toiminnan ja verihiutaleiden määrän seuraamiseksi (kunnes verihiutaleiden määrä palautuu lähtötasolle). Troponiini-I-tasoja on seurattava vähintään 3 kuukauden ajan Zolgensma-infusiosta, tai kunnes tasot palautuvat SMA-potilaiden normaalille viitealueelle. Alla olevaa taulukkoa voidaan käyttää apuna verikokeiden aikataulun laatimisessa.

Viikkoja Zolgensma-hoidosta	Verikokeet
Troponiini-I (jos pitoisuudet eivät ole palautuneet SMA-potilaiden normaalille viitealueelle).	
Viikko 9	Maksan toiminta (jos maksan toiminta ei ole palautunut lähtötasolle hoidon jälkeen tai jos kortikosteroidiannoksen pienentäminen on meneillään)
Viikko 10	Maksan toiminta Verihiutaleiden määrä (ellei ole palautunut lähtötasolle)
Viikko 11	Maksan toiminta (jos maksan toiminta ei ole palautunut lähtötasolle hoidon jälkeen tai jos kortikosteroidiannoksen pienentäminen on meneillään)
Viikko 12	Maksan toiminta Verihiutaleiden määrä (ellei ole palautunut lähtötasolle)

Kolmannen kuukauden aikana ja sen jälkeen tulee vielä ottaa verikokeita ja seurata potilaan tilaa seuraavissa tapauksissa:

- Maksan toiminnan viikoittaista seurantaa on jatkettava kortikosteroidihoidon loppuun asti ja muulloin kliinisen tarpeen mukaan
- Verihiutaleiden määrän seurantaa on jatkettava 2 viikon välein, kunnes se palautuu lähtötasolle
- Troponiini I -pitoisuuksia on seurattava, kunnes ne palautuvat SMA- potilaiden normaalille viitealueelle

Yhteenvetotarkistuslista

Alla oleva tarkistuslista on yhteenveto toimista, joihin on ryhdyttävä ennen Zolgensma-infuusion aloittamista, sen aikana ja sen jälkeen, jotta Zolgensma-hoitoon liittyviä mahdollisia riskejä voidaan pienentää:

Ennen hoidon aloittamista

- ☐ Kerro huoltajalle:
 - ☐ Zolgensman tärkeimmät riskit ja niihin liittyvät oireet ja löydökset, mukaan lukien TMA, maksan vajaatoiminta ja trombositopenia.
 - ☐ Kehon jätteiden hävittämistä koskevat käytännön ohjeet
 - ☐ Säännöllisten verikokeiden tarve
 - ☐ Kortikosteroidilääkityksen merkitys
 - ☐ Infektioiden ehkäisyyn, seurantaan ja hoitoon on kiinnitettävä tarkempaa huomiota ennen Zolgensma-hoitoa ja sen jälkeen.
- ☐ Ota verikokeet, mukaan lukien AAV9-vasta-aineiden määrittäminen lähtötason määrittämiseksi.
- ☐ Anna kortikosteroidiannos 24 tuntia ennen Zolgensma-hoitoa immuunivasteen vaimentamiseksi.
- ☐ Arvioi rokotusohjelma, jotta voit päättää, onko sitä mukautettava.
- ☐ Tarkista yleinen terveydentila, sillä hoitoa on siirrettävä, jos ilmenee infektiota viittaavia oireita tai löydöksiä.
- ☐ Tarkista potilaan paino varmistaaksesi, että potilas saa oikean Zolgensma-annoksen.

Infuusion aikaan

- ☐ Tarkista, että potilaan yleinen terveydentila on sopiva infuusion antamiselle (esim. infektioiden paraneminen) vai onko infuusion antamista syytä lykätä.
- ☐ Tarkista, että kortikosteroidien anto aloitettiin 24 tuntia ennen Zolgensma-infusiota, ja anna seuraava annos immuunivasteen vaimentamiseksi.
- ☐ Tarkista potilaan paino varmistaaksesi, että potilas saa oikean Zolgensma-annoksen.
- ☐ Zolgensma-infuusio annetaan vain kerran.
- ☐ Zolgensmaa on käsiteltävä asianmukaisesti.

Infuusion jälkeen

- ☐ Kortikosteroidihoitoa on jatkettava vähintään 2 kuukautta, eikä annosta saa vähentää ennen kuin ASAT- ja ALAT-arvot ovat alle 2 x ULN ja kaikki muut tulokset, esim. bilirubiini, ovat palautuneet normaaliarvoille.
- ☐ Potilaan tilaa on seurattava tiiviisti ja säännöllisesti (kliinisesti ja laboratoriossa) vähintään 3 kuukauden ajan.
- ☐ Arvioi potilaan tila viipymättä, jos maksan toimintakokeiden tulokset heikkenevät ja/tai ilmaantuu akuutin sairauden oireita tai löydöksiä.
- ☐ Jos potilas ei saa riittävää vastetta kortikosteroideille tai jos epäillään maksavaurioita, konsultoi viipymättä lasten gastroenterologia tai hepatologia.
- ☐ Jos epäilet TMA:ta, käänny erikoislääkärin puoleen.

Katso kaikki turvallisuutta ja lääkkeen määräämistä koskevat tiedot valmisteyhteenvedosta, jossa kerrotaan myös muista Zolgensmaa koskevista varoituksista ja käyttöön liittyvistä varotoimista.



Zolgensma-valmisteyhteenvedo on saatavilla Euroopan lääkeviraston verkkosivuilta:

https://www.ema.europa.eu/fi/documents/product-information/zolgensma-epar-product-information_fi.pdf

Voit ilmoittaa haittavaikutuksista suoraan kansallisen ilmoitusjärjestelmän kautta:

Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea Lääkkeiden haittavaikutusrekisteri

PL 55

00034 FIMEA

www.fimea.fi

Voit ilmoittaa haittavaikutuksista myös suoraan myyntiluvan haltijalle:

Novartis Finland Oy

Metsänneidonkuja 10

02130 Espoo

Puh. 010 6133 200

www.novartis.fi

www.novartis.com/report

Osa riskienhallintasuunnitelmaa v4.0. Fimean hyväksymispäivämäärä: 15.08.2024

FA-11274064_23092024

ZOLGENSMA EU RMP HCP Guide v2

© 2024 Novartis Europharm Limited. Kaikki oikeudet pidätetään.

 **NOVARTIS**

 **zolgensma®**
(onasemnogene
abeparvovec)