



# Zolgensma ▼

## (onasemnogen abeparvovec)

### Ghid pentru profesioniștii din domeniul sănătății pentru reducerea la minimum a riscurilor asociate tratamentului cu Zolgensma ▼ (onasemnogen abeparvovec)

Această broșură a fost concepută în sprijinul profesioniștilor din domeniul sănătății care pot prescrie, elibera și administra Zolgensma. Broșura are scopul de a oferi îndrumări privind principalele date de siguranță referitoare la hepatotoxicitatea și microangiopatia trombotică asociate cu Zolgensma (▼) și de a ajuta la reducerea riscurilor posibile de dinainte, din timpul și de după administrarea tratamentului. Prezenta broșură trebuie să fie studiată împreună cu Rezumatul Caracteristicilor Produsului (RCP).

#### Zolgensma este indicat pentru tratamentul:

- Pacienților cu atrofie musculară spinală (AMS) asociată cu cromozomul 5q cu o mutație bialelică la nivelul genei pentru supraviețuirea neuronului motor 1 (*SMN1*) și diagnostic clinic de AMS de tipul 1, sau
- Pacienților cu AMS asociată cu cromozomul 5q cu o mutație bialelică la nivelul genei *SMN1* și maximum 3 copii ale genei *SMN2*

Tratamentul cu Zolgensma trebuie să fie administrat în centre clinice și supervizat de un medic cu experiență în abordarea terapeutică a pacienților cu AMS

▼ Acest medicament face obiectul unei monitorizări suplimentare. Acest lucru va permite identificarea rapidă de noi informații referitoare la siguranță. Profesioniștii din domeniul sănătății sunt rugați să raporteze orice reacții adverse suspectate.

**Dacă aveți întrebări sau nelămuriri despre Zolgensma,  
discutați cu reprezentatul Novartis.**

AMS, atrofie musculară spinală; SMN, supraviețuirea neuronului motor (*survival motor neuron*); RCP, Rezumatul Caracteristicilor Produsului.



Vă mulțumim pentru timpul dedicat pentru a citi acest ghid. Acest document a fost dezvoltat pentru a ajuta la reducerea riscurilor posibile înaintea inițierii tratamentului cu Zolgensma, la momentul administrării perfuziei și după perfuzie, oferind îndrumări concentrate asupra următoarelor domenii de interes pentru siguranță:

- Hepatotoxicitate
- Microangiopatie trombotică

Dacă aveți întrebări sau nelămuriri despre acest medicament, vă rugăm să consultați RCP sau să le discutați cu reprezentantul Novartis

## Contacte utile

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

# Ce conține acest ghid?

<b>Înțelegerea riscurilor posibile ale tratamentului cu Zolgensma</b>	4
• Hepatotoxicitate	4
• Microangiopatie trombotică	4
<b>Reducerea riscurilor posibile ale tratamentului cu Zolgensma</b>	6
• Înaintea inițierii tratamentului	6
• La momentul perfuziei	10
• După perfuzie	13
<b>Programarea testelor de laborator</b>	16
<b>Listă de verificare</b>	19

# Înțelegerea riscurilor posibile ale tratamentului cu Zolgensma

## Informații importante despre siguranță

Mai jos sunt prezentate cele mai importante riscuri identificate după administrarea tratamentului cu Zolgensma. Vă rugăm să consultați RCP pentru informații complete despre prescriere și siguranță, deoarece există și alte atenționări și precauții speciale referitoare la Zolgensma



### Hepatotoxicitate

Hepatotoxicitatea mediată imun asociată tratamentului cu Zolgensma se manifestă, în general, ca valori crescute ale alanin transaminazei (ALT) și/sau ale aspartat aminotransferazei (AST).

După administrarea tratamentului cu Zolgensma au fost raportate afectare hepatică acută gravă și insuficiență hepatică acută, inclusiv cazuri letale. Acestea apar de obicei în decurs de 2 luni de la administrarea tratamentului și în ciuda administrării de corticosteroizi înainte și după perfuzie.

Hepatotoxicitatea poate necesita ajustarea schemei de tratament cu imunomodulatoare, inclusiv o durată mai lungă a tratamentului, doză crescută sau prelungirea reducerii treptate a dozei de corticosteroizi.



### Microangiopatie trombotică

Zolgensma poate crește riscul de microangiopatie trombotică (MAT), în general în primele două săptămâni de la administrarea tratamentului.

MAT este o afecțiune acută și care pune viața în pericol, care se caracterizează prin trombocitopenie, anemie hemolitică microangiopatică și afectare renală acută. Au fost observate consecințe letale asociate tratamentului cu Zolgensma. De asemenea, a fost raportată activarea concomitentă a sistemului imunitar (de exemplu, infecții, vaccinări) ca posibil factor declanșator.

Dacă pacienții prezintă semne clinice, simptome sau rezultate de laborator care să susțină diagnosticul de MAT, trebuie solicitat imediat consultul unui medic specialist pentru abordarea terapeutică a MAT, după cum este indicat clinic.

**Vă rugăm să consultați punctul 4.4 al RCP pentru informații suplimentare despre atenționările și precauțiile speciale pentru utilizarea Zolgensma**





**Alte atenționări și precauții speciale pentru utilizarea Zolgensma includ, fără a se limita la acestea:**

- **Trombocitopenia**
  - În studiile clinice cu Zolgensma au fost observate scăderi tranzitorii ale numărului de trombocite, dintre care unele au îndeplinit criteriile pentru trombocitopenie
- **Troponina-I**
  - După perfuzia cu Zolgensma au fost observate creșteri ale valorilor troponinei-I cardiace

**Vă rugăm să rețineți că atenționările și precauțiile speciale pentru utilizare asociate cu Zolgensma nu sunt limitate la cele identificate în acest ghid. Vă rugăm să consultați RCP sau să discutați cu reprezentantul Novartis pentru informațiile complete privind siguranța Zolgensma**

# Reducerea riscurilor posibile ale tratamentului cu Zolgensma

## 1. Înaintea inițierii tratamentului

Informați persoanele care îi îngrijesc pe pacienți despre principalele riscuri asociate tratamentului cu Zolgensma și despre semnele și simptomele acestora, inclusiv (fără a fi limitate la acestea) MAT, insuficiență hepatică și trombocitopenie



### Teste de sânge

Anticorpul anti-virus adeno-asociat de serotip 9 (VAA9) se poate forma după expunerea naturală.

**Pacienții trebuie să fie testați pentru prezența anticorpilor anti-VAA9 înainte de administrarea tratamentului utilizând un test validat corespunzător**

**Încă nu se cunoaște dacă și în ce condiții se poate administra Zolgensma în mod sigur și eficient în prezența anticorpilor anti-VAA9 cu titru peste 1:50. Testarea se poate repeta dacă se raportează că titrurile anticorpilor anti-VAA9 sunt peste 1:50.**

Înaintea administrării Zolgensma, sunt necesare de asemenea următoarele teste de laborator inițiale (fără a se limita la acestea):

- funcția hepatică: ALT, AST, bilirubina totală, albumina, timpul de protrombină, timpul de tromboplastină parțială (PTT) și raportul normalizat internațional (INR)
- creatinina
- hemoleucograma completă (inclusiv hemoglobină și număr de trombocite)
- troponina-I

Sunt necesare teste de sânge regulate timp de cel puțin 3 luni după perfuzia cu Zolgensma. Vă rugăm să consultați paginile 16–18 ale acestei broșuri pentru o schemă detaliată a testelor de sânge.

**Informații persoanele care îi îngrijesc pe pacienți despre necesitatea analizelor de sânge regulate**

Persoanele care îi îngrijesc pe pacienți trebuie atenționate că vor fi necesare analize de sânge timp de cel puțin 3 luni după tratamentul cu Zolgensma. Respectarea schemei de monitorizare a testelor de laborator este importantă pentru a obține cele mai bune rezultate. Datele programării testelor de laborator trebuie să fie convenite și stabilite înaintea administrării tratamentului

**Administrarea de corticosteroizi**

După administrarea de Zolgensma o să apară un răspuns imun la capsida VAA9 care poate determina:



creșterea valorilor  
aminotransferazelor  
hepatice



creșterea valorilor  
troponinei-I



scăderea  
numărului de trombocite

Pentru a atenua răspunsul imun, se recomandă imunomodularea cu corticosteroizi.



**Începând cu 24 de ore înainte de perfuzia cu Zolgensma, se recomandă instituirea unei scheme de tratament cu corticosteroizi.** Se recomandă următoarea prescripție inițială:

**Prednisolon pe cale orală 1 mg/kg/zi (sau echivalent dacă se utilizează alt corticosteroid)**

**Informații persoanele care îi îngrijesc pe pacienți despre importanța tratamentului cu corticosteroizi**

Informații persoanele care îi îngrijesc pe pacienți despre faptul că trebuie să vă anunțe urgent despre orice episod de vărsături pentru a vă asigura că pacientul nu omite administrarea corticosteroidului

# Reducerea riscurilor posibile ale tratamentului cu Zolgensma

## 1. Înaintea inițierii tratamentului (continuare)

Dacă, în orice moment, pacienții nu răspund adecvat la echivalentul a 1 mg/kg/zi prednisolon cu administrare orală, în funcție de evoluția clinică a pacientului, trebuie avute în vedere consultarea promptă cu un specialist de gastroenterologie pediatrică sau cu un hepatolog și ajustarea schemei recomandate de tratament cu imunomodulatoare, inclusiv doză crescută, durată mai lungă a administrării sau prelungirea reducerii treptate a dozei de corticosteroizi



### Starea generală de sănătate

Dat fiind riscul crescut de apariție a unui răspuns imun sistemic grav, se recomandă ca pacienții să fie stabili din punct de vedere clinic în ceea ce privește starea lor generală de sănătate, incluzând hidratare și status nutrițional și absența infecției

**Informați persoanele care îi îngrijesc pe pacienți despre faptul că este necesară o atenție crescută în prevenirea, monitorizarea și gestionarea infecțiilor înainte și după perfuzia cu Zolgensma**

Este necesar ca persoanele care îi îngrijesc pe pacienți:

- să fie informate despre semnele și simptomele care sugerează o infecție. Dacă pacientul prezintă orice semne și simptome, trebuie să vă contacteze urgent
- să ajute la prevenirea infecțiilor prin evitarea situațiilor care pot crește riscul ca pacientul să contracteze infecții, cum ar fi igiena corectă a mâinilor, respectarea etichetei în caz de strănut/tuse și limitarea potențialelor contacte



**În cazul infecțiilor active necontrolate, acute sau cronice, tratamentul trebuie să fie amânat până când infecția se remite și pacientul este stabil din punct de vedere clinic**



### Schema de vaccinare

Înainte de inițierea tratamentului trebuie să fie evaluată schema de vaccinare a pacientului

Atunci când este posibil, schema de vaccinare trebuie să fie ajustată pentru a permite administrarea concomitentă de corticosteroizi, înainte și după perfuzia cu Zolgensma

Se recomandă profilaxia virusului sincițial respirator (VSR) de sezon și aceasta trebuie să fie actualizată. Vaccinurile cu virusuri vii, cum sunt cele pentru rujeolă, oreion și rubeolă (ROR) și varicelă, nu trebuie să fie administrate pacienților tratați cu steroizi în scopul obținerii imunosupresiei



### Greutatea corporală

Pacienților li se va administra o doză nominală de  $1,1 \times 10^{14}$  vg/kg Zolgensma. Volumul total de Zolgensma administrat pacientului este stabilit în funcție de greutatea corporală a acestuia. Pacientul trebuie să fie cântărit înaintea administrării tratamentului pentru a vă asigura că primește doza corectă

## 2. La momentul perfuziei



### Starea generală de sănătate

**Se verifică dacă starea generală de sănătate a pacientului este adecvată pentru administrarea perfuziei (de exemplu, remiterea infecțiilor) sau dacă este necesară o amânare a administrării**

Tratamentul nu trebuie să fie instituit în cazul în care sunt prezente infecții active, fie acute (de exemplu, infecții respiratorii acute sau hepatită acută), fie cronice necontrolate (de exemplu, hepatită B activă cronică), până când infecția s-a remis. Dacă pacientul prezintă orice semne sau simptome care sugerează o infecție, tratamentul trebuie să fie amânat

**În cazul infecțiilor active necontrolate, acute sau cronice, tratamentul trebuie să fie amânat până când infecția se remite și pacientul este stabil din punct de vedere clinic**



### Greutatea corporală a pacientului

Doza de Zolgensma este stabilită în funcție de greutatea corporală

Dacă există o întârziere între comanda de Zolgensma și administrarea perfuziei, este posibil să fie necesară o nouă cântărire a pacientului pentru a vă asigura că doza de Zolgensma este cea corectă

**Contactați imediat Novartis dacă sunteți îngrijorat cu privire la o modificare a greutății corporale a pacientului față de momentul în care ați comandat doza de Zolgensma pentru pacientul respectiv**





## Administrarea corticosteroizilor

**Verificați dacă tratamentul cu corticosteroizi a fost inițiat cu 24 de ore înaintea perfuziei cu Zolgensma**

Pentru atenuarea răspunsului imun, pacienții trebuie să fi inițiat schema imunomodulatoare cu corticosteroizi, prima doză fiind administrată cu 24 de ore înaintea tratamentului cu Zolgensma. În ziua administrării tratamentului cu Zolgensma, pacientul trebuie să continue schema imunomodulatoare și să primească următoarea doză de corticosteroizi:

**Prednisolon administrat oral 1 mg/kg/zi (sau echivalent dacă se utilizează un alt corticosteroid)**

Apoi schema imunomodulatoare trebuie să fie continuată timp de 28 de zile după administrarea perfuziei cu Zolgensma. Vă rugăm să consultați pagina 13 pentru informații despre administrarea corticosteroizilor după perfuzie.

**Dacă, în orice moment, pacienții nu răspund adecvat la echivalentul a 1 mg/kg/zi prednisolon cu administrare orală, în funcție de evoluția clinică a pacientului, trebuie avute în vedere consultarea promptă cu un specialist de gastroenterologie pediatrică sau cu un hepatolog și ajustarea schemei recomandate de tratament cu imunomodulatoare, incluzând doză crescută, durată mai lungă a administrării sau prelungirea reducerii treptate a dozei de corticosteroizi**



# Reducerea riscurilor posibile ale tratamentului cu Zolgensma

## 2. La momentul perfuziei (continuare)



### Perfuzia cu Zolgensma

**Zolgensma se administrează numai în perfuzie intravenoasă în doză unică**

Zolgensma trebuie să fie administrat prin injectomat, prin perfuzie intravenoasă unică, lentă, cu durata de aproximativ 60 de minute. Se recomandă introducerea unui cateter secundar („de rezervă”).

Trebuie administrat numai în perfuzie intravenoasă. **Nu trebuie să fie administrat prin administrare intravenoasă rapidă sau bolus intravenos.**

După finalizarea perfuziei, linia trebuie să fie spălată cu soluție salină.

**Vă rugăm să consultați punctul 4.2 al RCP pentru informații importante despre dozele și modul de administrare ale Zolgensma**



**Zolgensma conține organisme modificate genetic. Prin urmare, trebuie să luați măsurile adecvate de precauție când manipulați sau administrați Zolgensma**

Pentru instrucțiuni detaliate privind prepararea, manipularea, expunerea accidentală și eliminarea (inclusiv manipularea corectă a produselor de excreție ale corpului) Zolgensma, consultați RCP

## 3. După perfuzie

### Administrarea corticosteroidelor după Zolgensma

Tratamentul cu corticosteroidi trebuie să continue cel puțin 2 luni după administrarea perfuziei; acesta nu trebuie redus treptat până când AST/ALT nu au valori sub  $2 \times$  LSN (limita superioară a valorilor normale) și toate celelalte analize, de exemplu bilirubina totală, revin la valori normale.

Poate fi necesar ca această perioadă să fie prelungită dacă enzimele hepatice ale pacientului nu scad suficient de rapid, până când ajung la un nivel acceptabil. Doza de corticosteroid administrată pacientului trebuie să fie redusă lent de la acest moment, până când tratamentul poate fi oprit definitiv.



**Prednisolon 1 mg/kg/zi trebuie să fie administrat pe cale orală (sau echivalent dacă se utilizează alt corticosteroid) timp de 28 de zile după administrarea Zolgensma.** La finalul perioadei de administrare a corticosteroidului (care totalizează o perioadă de 30 de zile în care sunt incluse dozele de corticosteroidi de dinainte și de după perfuzie), este necesară verificarea funcției hepatice a pacienților

A doua lună de corticosteroidi



**În cazul pacienților cu rezultate normale (examen clinic normal, valori normale ale bilirubinei totale și valori serice ale ALT și AST sub  $2 \times$  LSN la sfârșitul perioadei totale de 30 de zile):**

Reduceți treptat doza de prednisolon (sau echivalent) pe parcursul a 28 de zile

- De exemplu: 2 săptămâni cu 0,5 mg/kg/zi și apoi 2 săptămâni cu 0,25 mg/kg/zi prednisolon administrat oral



**În cazul pacienților cu valori anormale ale funcției hepatice la sfârșitul perioadei de 30 de zile:**

Se continuă administrarea de prednisolon până când valorile serice ale AST și ALT sunt sub  $2 \times$  LSN și toate celelalte determinări revin în intervalul de valori normale, apoi se reduce treptat doza, pe durata a 28 de zile sau mai mult, dacă este necesar

**Trebuie consultat un specialist de gastroenterologie pediatrică sau un hepatolog dacă pacienții nu răspund adecvat la doza echivalentă cu 1 mg/kg/zi prednisolon cu administrare orală. Dacă tratamentul oral cu corticosteroidi nu este tolerat, poate fi avută în vedere administrarea intravenoasă a corticosteroidelor, după cum este indicat clinic**

# Reducerea riscurilor posibile ale tratamentului cu Zolgensma

## 3. După perfuzie (continuare)

### Teste de sânge regulate

Trebuie efectuată o monitorizare atentă și regulată (clinică și de laborator) a evoluției fiecărui pacient timp de cel puțin 3 luni după administrarea perfuziei cu Zolgensma



**Funcția hepatică (ALT, AST, bilirubina totală) trebuie să fie monitorizată la intervale regulate, timp de cel puțin 3 luni după perfuzia cu Zolgensma.**

Testele trebuie să fie efectuate:

- săptămânal în prima lună și pe întreaga durată a reducerii treptate a dozei de corticosteroizi
- la intervale de două săptămâni, timp de încă o lună, și la alte intervale de timp, după cum este indicat clinic

Pacienții cu valori agravate ale analizelor funcției hepatice și/sau semne sau simptome ale unei boli acute trebuie evaluați prompt din punct de vedere clinic și monitorizați atent

**Dacă pacienții nu răspund la corticosteroizi sau dacă există suspiciunea afectării hepatice, consultați un specialist de gastroenterologie pediatrică sau hepatolog**



**Numărul de trombocite trebuie să fie monitorizat atent în primele 2 săptămâni după perfuzie și în mod regulat după aceea**

După tratamentul cu Zolgensma, numărul de trombocite trebuie să fie monitorizat:

- cel puțin săptămânal în prima lună
- la interval de 2 săptămâni în a doua și a treia lună până când numărul de trombocite revine la nivelul inițial

**Dacă există suspiciunea de MAT, trebuie consultat un specialist**



**Nivelurile troponinei-I trebuie să fie monitorizate timp de cel puțin 3 luni după administrarea perfuziei cu Zolgensma sau până când nivelurile revin în intervalul normal de referință pentru pacienții cu AMS**

Se va lua în considerare consultul de specialitate al unui cardiolog, după cum este necesar



## Excreția temporară

Poate avea loc eliminarea temporară a Zolgensma, în principal prin urină și materii fecale, timp de cel puțin 1 lună după tratamentul cu Zolgensma

Oferiți-le persoanelor care au grijă de pacient sfaturi practice privind manipularea corectă a produselor de excreție, sfaturi care trebuie să fie respectate timp de cel puțin 1 lună după ce copilul a primit tratamentul cu Zolgensma



**Să poarte mănuși de protecție** în cazul contactului direct cu lichidele corporale și produsele de excreție ale pacientului



**Să se spele temeinic pe mâini** după aceea cu apă caldă curentă și săpun sau cu un dezinfectant pentru mâini pe bază de alcool



**Să folosească pungi de plastic duble** pentru a elimina scutecele murdare și alte deșeuri. Scutecele de unică folosință pot fi eliminate la deșeuri menajere

# Programarea testelor de laborator: Luna 1 după tratamentul cu Zolgensma (30 de zile)



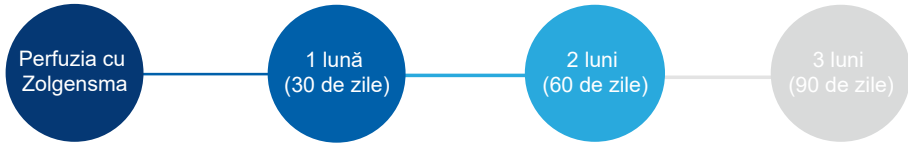
## Teste de sânge

În prima lună după tratamentul cu Zolgensma, pacientul dumneavoastră va necesita **analize de sânge săptămânale pentru evaluarea funcției hepatice și a numărului de trombocite. Nivelurile troponinei-I trebuie să fie monitorizate cel puțin 3 luni după perfuzia cu Zolgensma** sau până când nivelurile revin la intervalul normal de referință pentru pacienții cu AMS. Puteți utiliza tabelul de mai jos pentru a vă orienta în legătură cu programarea testelor de sânge.

Număr de săptămâni după tratamentul cu Zolgensma	Teste de laborator
<b>Troponina-I (dacă nivelurile nu au revenit în intervalul normal de referință pentru pacienții cu AMS)</b>	
<b>Săptămâna 1</b>	Funcția hepatică Număr de trombocite
<b>Săptămâna 2</b>	Funcția hepatică Număr de trombocite
<b>Săptămâna 3</b>	Funcția hepatică Număr de trombocite
<b>Săptămâna 4</b>	Funcția hepatică Număr de trombocite



## Programarea testelor de laborator: Luna 2 după tratamentul cu Zolgensma (60 de zile)



### Teste de sânge

În a doua lună după administrarea Zolgensma și pe întreaga perioadă de scădere treptată a dozei de corticosteroid, pacientul dumneavoastră va necesita **efectuarea săptămânală a testelor funcției hepatice. Numărul de trombocite trebuie să fie monitorizat la fiecare 2 săptămâni până când revine la nivelul inițial. Nivelurile troponinei-I trebuie să fie monitorizate cel puțin 3 luni după perfuzia cu Zolgensma** sau până când nivelurile revin la intervalul normal de referință pentru pacienții cu AMS. Puteți utiliza tabelul de mai jos pentru a vă orienta în legătură cu programarea testelor de sânge

Număr de săptămâni după tratamentul cu Zolgensma	Teste de laborator
<b>Troponina-I (se continuă monitorizarea în luna a 2-a dacă nivelurile nu au revenit în intervalul normal de referință pentru pacienții cu AMS)</b>	
<b>Săptămâna 5</b>	Funcția hepatică
<b>Săptămâna 6</b>	Funcția hepatică Număr de trombocite
<b>Săptămâna 7</b>	Funcția hepatică
<b>Săptămâna 8</b>	Funcția hepatică Număr de trombocite

## Programarea testelor de laborator: Luna 3 după tratamentul cu Zolgensma (90 de zile)



### Teste de sânge

În a treia lună după administrarea tratamentului cu Zolgensma, pacientul dumneavoastră va necesita **teste de laborator regulate (la 2 săptămâni) ale funcției hepatice și numărului de trombocite** (până la revenirea numărului de trombocite la nivelul inițial). **Nivelurile troponinei-I trebuie să fie monitorizate cel puțin 3 luni** sau până când nivelurile revin la intervalul normal de referință pentru pacienții cu AMS. Puteți utiliza tabelul de mai jos pentru a vă orienta în legătură cu programarea testelor de sânge

Număr de săptămâni după tratamentul cu Zolgensma	Teste de laborator
<b>Troponina-I (se continuă monitorizarea în luna 3 dacă nivelurile nu au revenit în intervalul normal de referință pentru pacienții cu AMS)</b>	
<b>Săptămâna 10</b>	Funcția hepatică Număr de trombocite
<b>Săptămâna 12</b>	Funcția hepatică Număr de trombocite

### După luna 3, pot fi necesare teste de sânge suplimentare și continuarea monitorizării în anumite cazuri, care sunt prezentate mai jos

- Funcția hepatică trebuie să continue să fie monitorizată săptămânal până la finalul reducerii treptate a dozelor de corticosteroizi și în alte momente dacă acest lucru este indicat clinic
- Numărul de trombocite trebuie să continue să fie monitorizat la interval de 2 săptămâni până la revenirea acestuia la nivelul inițial
- Nivelurile troponinei-I trebuie să fie monitorizate până la revenirea acestora în intervalul normal de referință pentru pacienții cu AMS

# Listă de verificare

**Lista de mai jos reprezintă un rezumat al acțiunilor necesare înaintea inițierii, în timpul administrării și după administrarea perfuziei cu Zolgensma pentru a vă ajuta să reduceți riscurile posibile asociate cu tratamentul cu Zolgensma:**

## Înainte de inițierea tratamentului

- Informați persoana care îl îngrijește pe pacient despre:
  - Principalele riscuri asociate cu Zolgensma și semnele și simptomele acestora, inclusiv MAT, insuficiența hepatică și trombocitopenia
  - Sfaturile practice privind eliminarea deșeurilor corporale
  - Necesitatea efectuării regulate a testelor de laborator
  - Importanța administrării tratamentului cu corticosteroizi
  - Necesitatea unei atenții crescute în prevenirea, monitorizarea și abordarea terapeutică a infecțiilor înainte și după tratamentul cu Zolgensma
- Efectuați teste de sânge, inclusiv testarea prezenței anticorpilor anti-VAA9 pentru a stabili valorile inițiale
- Administrați doza de corticosteroid pentru atenuarea răspunsului imun
- Evaluați schema de vaccinare pentru a decide dacă aceasta necesită ajustări
- Verificați starea generală de sănătate, deoarece tratamentul trebuie să fie amânat în cazul unor semne sau simptome care sugerează o infecție
- Verificați greutatea corporală a pacientului pentru a vă asigura că acesta primește doza corectă de Zolgensma

## În timpul perfuziei

- Verificați dacă starea generală de sănătate a pacientului este adecvată pentru administrarea perfuziei (de exemplu, remiterea infecțiilor) sau dacă este necesară o amânare a administrării
- Verificați dacă administrarea corticosteroizilor a fost inițiată înaintea perfuziei cu Zolgensma și administrați următoarea doză pentru atenuarea răspunsului imun
- Verificați greutatea corporală a pacientului pentru a vă asigura că acesta primește doza corectă de Zolgensma
- Perfuzia cu Zolgensma este administrată o singură dată
- Trebuie respectate regulile de manipulare adecvată a Zolgensma

## După perfuzie

- Tratamentul cu corticosteroizi trebuie să continue cel puțin 2 luni; acesta nu trebuie redus treptat până când AST/ALT au valori sub  $2 \times$  LSN și toate celelalte analize, de exemplu bilirubina totală, revin la valori normale
- Trebuie efectuată o monitorizare atentă și regulată (clinică și de laborator) a evoluției individuale a pacientului timp de minimum 3 luni
- Evaluarea promptă a pacienților cu valori ale analizelor funcției hepatice agravate și/sau semne sau simptome ale bolii acute
- Dacă pacienții nu răspund adecvat la tratamentul cu corticosteroizi sau dacă se suspectează afectare hepatică, este necesară consultarea unui specialist în gastroenterologie pediatrică sau hepatolog
- Dacă se suspectează MAT, trebuie consultat un medic specialist

**Vă rugăm să consultați RCP pentru informațiile complete despre siguranță și instrucțiunile de prescriere deoarece există și alte atenționări și precauții speciale pentru utilizarea Zolgensma**



VAA9, virusul adeno-asociat de serotip 9; ALT, alanin aminotransferaza; AST, aspartat aminotransferaza; RCP, Rezumatul Caracteristicilor Produsului; MAT, microangiopatie trombotică; LSN, limita superioară a valorilor normale.

▼ Acest medicament face obiectul unei monitorizări suplimentare. Acest lucru va permite identificarea rapidă de noi informații referitoare la siguranță. Profesioniștii din domeniul sănătății sunt rugați să raporteze orice reacții adverse suspectate.

Medicament eliberat pe bază de prescripție medicală restrictivă – PR.

Acest material educațional este destinat profesioniștilor din domeniul sănătății.

Informații complete de prescriere sunt disponibile aici:

[https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/zolgensma-eparproduct-information\\_ro.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/zolgensma-eparproduct-information_ro.pdf), revizuite la data de 03/2023.

Pentru informații medicale suplimentare vă rugăm să contactați Novartis Pharma Services S.R.L. la adresa de e-mail [informatie.medicala@novartis.com](mailto:informatie.medicala@novartis.com) sau Telefon recepție: +4021 3129901.

### **Apel la raportarea reacțiilor adverse**

Este important să raportați orice reacție adversă suspectată, asociată cu administrarea medicamentului Zolgensma către Agenția Națională a Medicamentului și a Dispozitivelor Medicale din România, în conformitate cu sistemul național de raportare spontană, utilizând formularele de raportare disponibile pe pagina web a Agenției Naționale a Medicamentului și a Dispozitivelor Medicale ([www.anm.ro](http://www.anm.ro)), la secțiunea Medicamente de uz uman/Raportează o reacție adversă.

### **Agenția Națională a Medicamentului și a Dispozitivelor Medicale din România**

Str. Aviator Sănătescu nr. 48, sector 1 București 011478- RO Fax: +4 0213 163 497 E-mail: [adr@anm.ro](mailto:adr@anm.ro)

Raportare online: <https://adr.anm.ro/>

Website: [www.anm.ro](http://www.anm.ro)

Totodată, evenimentele adverse se pot raporta și către reprezentanța locală a deținătorului autorizației de punere pe piață, la următoarele date de contact:

Novartis Pharma Services România S.R.L., Telefon de farmacovigilență: +40213104430, Fax: +40213104029, e-mail: [drugsafety.romania@novartis.com](mailto:drugsafety.romania@novartis.com) sau in format electronic la adresa : [www.report.novartis.com](http://www.report.novartis.com). Puteți să raportați o reclamație legată de calitatea unui produs Novartis la următoarele date de contact: Email: [qa.romania@novartis.com](mailto:qa.romania@novartis.com), Fax: +40213129907 sau Telefon recepție: +40213129901.

ROZOL\_02\_05/2023

 **NOVARTIS**

Novartis Pharma Services România SRL  
Complex Equilibrium, Clădirea 1,  
Str. Gara Herăstrău nr. 2, Etajul 10, secțiunea E10.02  
020334, București, România  
Tel +4 021 312 99 01, Fax +4 021 312 99 07  
E-mail: [office.romania@novartis.com](mailto:office.romania@novartis.com)

 **zolgensma**® ▼  
(onasemnogene  
abeparvovec)