



Vodič za njegovatelje

za liječenje lijekom Zolgensma (onasemnogen abeparvovek) ▼

Ovaj vodič predstavlja edukacijski materijal koji je obavezan kao uvjet za stavljanje lijeka Zolgensma u promet, u cilju dodatne minimizacije važnih odabranih rizika.

Bez promidžbenog sadržaja.

Informacije navedene u ovom edukacijskom materijalu ne zamjenjuju one navedene u uputi o lijeku koja je priložena svakom pakiranju ovog lijeka. Za potpune informacije prije primjene lijeka pročitajte uputu o lijeku (dostupna u svakom pakiranju lijeka i na www.halmed.hr/Lijekovi/Baza-lijekova).

▼ Ovaj je lijek pod dodatnim praćenjem. Time se omogućuje brzo otkrivanje novih sigurnosnih informacija. Prijavom svih sumnji na nuspojavu i Vi možete pomoći. Upute za prijavljivanje dostupne su na www.halmed.hr.

Ovaj edukacijski materijal možete pronaći na internetskim stranicama Agencije za lijekove i medicinske proizvode (HALMED) u dijelu Farmakovigilancija/ Mjere minimizacije rizika.

Sažetak važnih rizika i preporučenih postupaka za njihovu prevenciju i/ili minimizaciju

Liječnik Vašeg djeteta dao Vam je ovaj vodič zato što je Vašem djetetu propisan lijek Zolgensma.

Svrha ovog vodiča je davanje praktičnih informacija koje pomažu u razgovoru s liječnikom. Treba ih pročitati zajedno s uputom o lijeku koju dobijete za ovaj lijek.

- **Nakon primanja Zolgensme Vaše će dijete svakodnevno primati terapiju kortikosteroidima tijekom oko 2 mjeseca ili duže.**
- Nakon liječenja Zolgensmom, Vaše će dijete redovito obavljati krvne pretrage radi provjere jetrene funkcije, broja trombocita i troponina I.
- **Vodite računa o dobroj higijeni ruku, kako je navedeno u nastavku Vodiča, do 1 mjeseca nakon što Vaše dijete primi lijek Zolgensma.**

Zatražite hitnu medicinsku pomoć ako se kod Vašeg djeteta razviju sljedeći znakovi i simptomi:

- **Modrice ili krvarenje** dulje od uobičajenog ako se Vaše dijete ozlijedilo – to mogu biti znakovi niske razine trombocita (trombocitopenije).
- **Lakše stvaranje modrica, konvulzije (napadaji) ili smanjeno izlučivanje mokraće** – to mogu biti znakovi poremećenog zgrušavanja krvi u malim krvnim žilama (trombotična mikroangiopatija).
- **Povraćanje, žutica (žuta boja kože ili bjeloočnica) ili smanjena pažnja** – to mogu biti znakovi problema s jetrom.
- **Blijedo siva ili plava boja kože, poteškoće s disanjem** (npr. ubrzano disanje, nedostatak zraka), **oticanje ruku i nogu ili trbuha** – to može ukazivati na problem sa srcem.
- **Kašljanje, piskanje, kihanje, curenje nosa, grlobolja ili vrućica** – to mogu biti znakovi infekcije (npr. prehlade, gripe ili bronholitisa).
- **Obratite se liječniku u slučaju povraćanja prije ili nakon liječenja Zolgensmom**, kako bi se osiguralo da Vaše dijete ne propusti dozu kortikosteroida.

Ovaj je vodič izrađen kako bi pružio korisne informacije s naglaskom na sljedećim aspektima:

- što je SMA
- što je Zolgensma i kako djeluje
- važnim sigurnosnim informacijama i mogućim nuspojavama Zolgensme
- svakom koraku tijekom liječenja Zolgensmom

Ako imate bilo kakvih pitanja ili zabrinutosti oko ovog lijeka ili zdravlja i dobrobiti Vašeg djeteta, obratite se djetetovom liječniku, medicinskoj sestri ili ljekarniku/drugom zdravstvenom radniku.

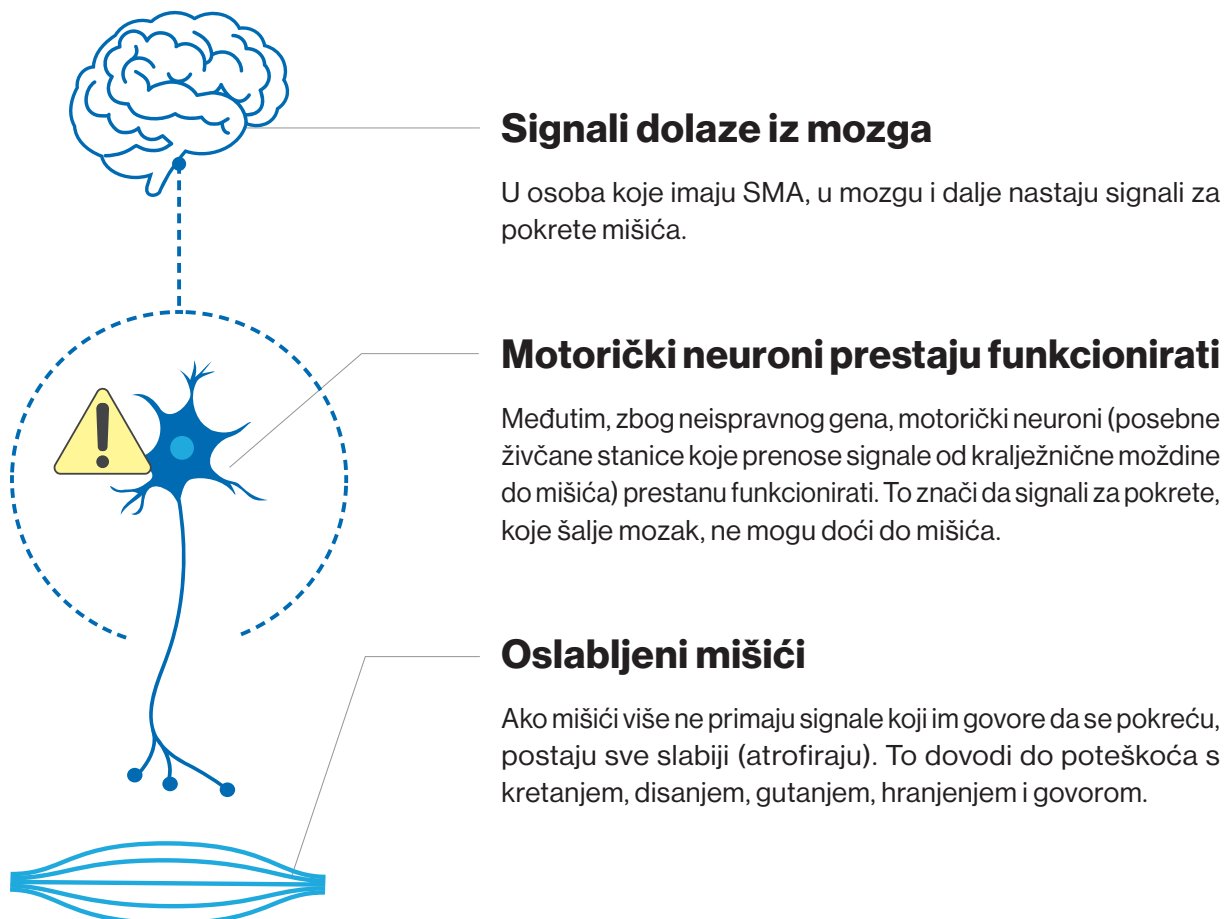
Korisni kontakti

Što sadrži ovaj vodič?

O SMA-u	5
Što je SMA?	5
Koji su različiti tipovi SMA?	6
Što uzrokuje SMA?	7
Kako se obolijeva od SMA?	8
O lijeku Zolgensma	9
Saznajte više o lijeku Zolgensma i kako djeluje	9
Razumijevanje rizika Zolgensme	10
Važne sigurnosne informacije i moguće nuspojave Zolgensme	10
Liječenje Zolgensmom	13
Prije liječenja	14
Dan liječenja	15
Nakon liječenja	16
Kada zatražiti liječničku pomoć	21
Kontakt podaci liječnika	22
Lokalne udruge	23
Česti pojmovi koje je potrebno znati	24
Pronađite korisne definicije pojmova koji se koriste u ovom vodiču	24
Bilješke	27

Što je SMA?

Spinalna mišićna atrofija (SMA) je rijetka, ozbiljna nasljedna bolest u kojoj propadaju živci koji kontroliraju mišiće (motorički neuroni). To dovodi do slabljenja i atrofiranja mišića te na kraju do gubitka pokreta i poteškoća s disanjem, gutanjem, hranjenjem i govorom.



Kod SMA-a sposobnost razmišljanja, učenja i izgradnje odnosa ostaje nepromijenjena

Koji su simptomi SMA?

SMA ima niz simptoma koji se mogu razlikovati od osobe do osobe te biti različite težine. SMA može utjecati na svakodnevne aktivnosti kao što su disanje, hranjenje, sjedenje, puzanje i hodanje.

Što se ranije pojave simptomi SMA-a, to će bolest vjerojatno biti teža.

Koji su tipovi SMA?

Kod postavljanja dijagnoze, oboljeli od SMA-a mogu se podijeliti na tipove ovisno o dobi u kojoj je nastupila bolest i maksimalnoj funkcionalnoj sposobnosti, tj. motoričkim sposobnostima. Motoričke sposobnosti relevantne za određivanje tipa SMA-a u oboljele djece uključuju njihovu sposobnost da:



Podignu glavicu



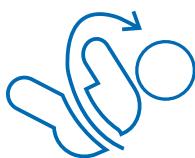
Prime nešto rukom



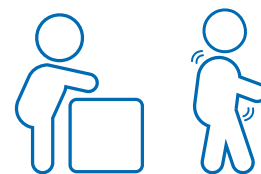
Pužu



Sjede



Okrenu se



Ustanu i hodaju

Starost u trenutku pojave simptoma	Rođenje	≤6 mjeseci	6–18 mjeseci	>18 mjeseci	≥18 godina
Funkcionalna sposobnost	Smanjeni djetetovi pokreti tijekom trudnoće	Ne može samostalno sjediti	Može sjediti i ustati, ne može samostalno hodati	Samostalno hodanje	Samostalno hodanje u odrasloj dobi
Klasifikacija	SMA tip 0	SMA tip 1	SMA tip 2	SMA tip 3	SMA tip 4
Težina	← Ranije, teži oblik		→ Kasnije, manje težak oblik		

Bez intervencije ili liječenja, djeca s težim oblicima SMA-a imaju skraćeni životni vijek. S ranom medicinskom intervencijom i liječenjem propadanje se može usporiti, a djeca često mogu postići motoričke sposobnosti koje se rijetko viđaju u prirodnom tijeku bolesti.

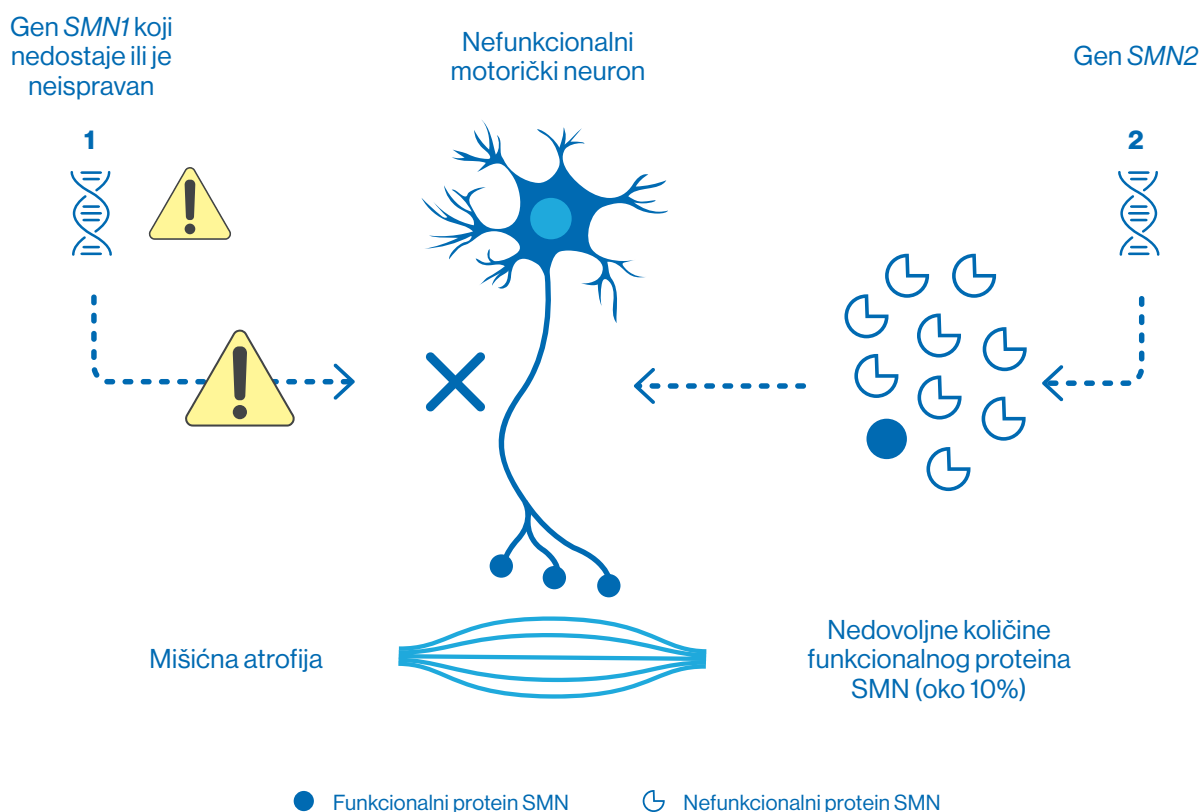
Što uzrokuje SMA?

Protein koji se naziva SMN (od engl. *survival motor neuron*) ključan je za pravilno funkcioniranje motoričkih neurona. Bez proteina SMN, motorički neuroni u kralježničnoj moždini prestanu funkcionirati i mišići postaju sve slabiji. Tijelo proizvodi protein SMN iz gena koji se nazivaju geni *SMN*. Postoje 2 vrste gena *SMN*: *SMN1* i *SMN2*.

Gen *SMN1* je glavni gen i proizvodi većinu proteina SMN.

Gen *SMN2* proizvodi male količine proteina SMN, stoga djeluje više kao „rezerva“ s obzirom da ne može sam proizvesti dovoljne količine proteina SMN.

U osoba koje imaju SMA, gen *SMN1* je ili neispravan (mutiran) ili ga uopće nema. Zbog toga se kod SMA-a ne proizvodi dovoljno proteina SMN i motorički neuroni prestanu funkcionirati, što uzrokuje slabljenje mišića.

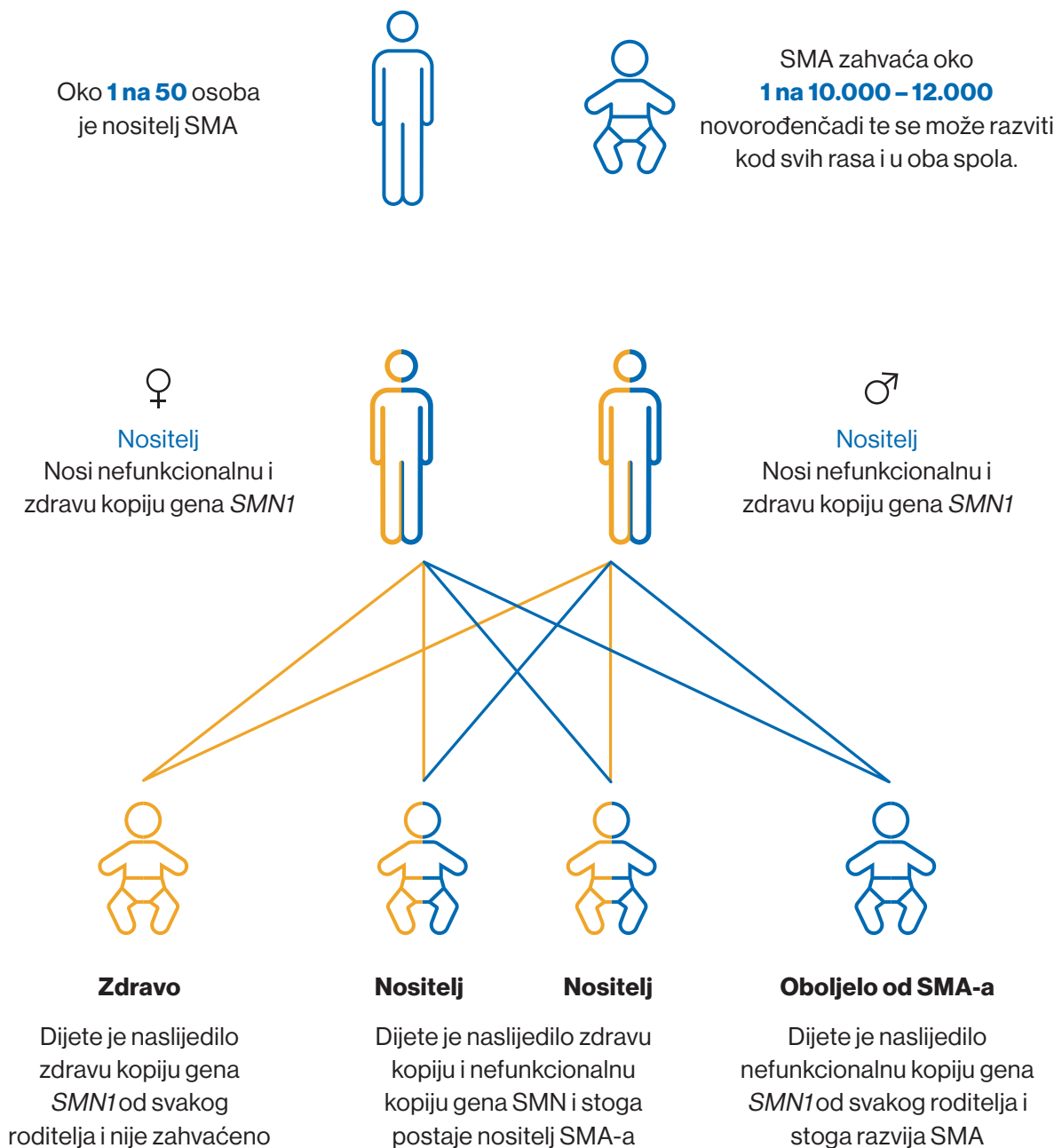


Kako se obolijeva od SMA?

SMA se obično nasljeđuje, iako ju ponekad može uzrokovati i slučajna greška u *SMN1* genu.

Djeca nasljeđuju dvije kopije *SMN1* gena, po jednu kopiju od svakog roditelja. Polovica djetetovih genetskih informacija dolazi od majke, a polovica od oca.

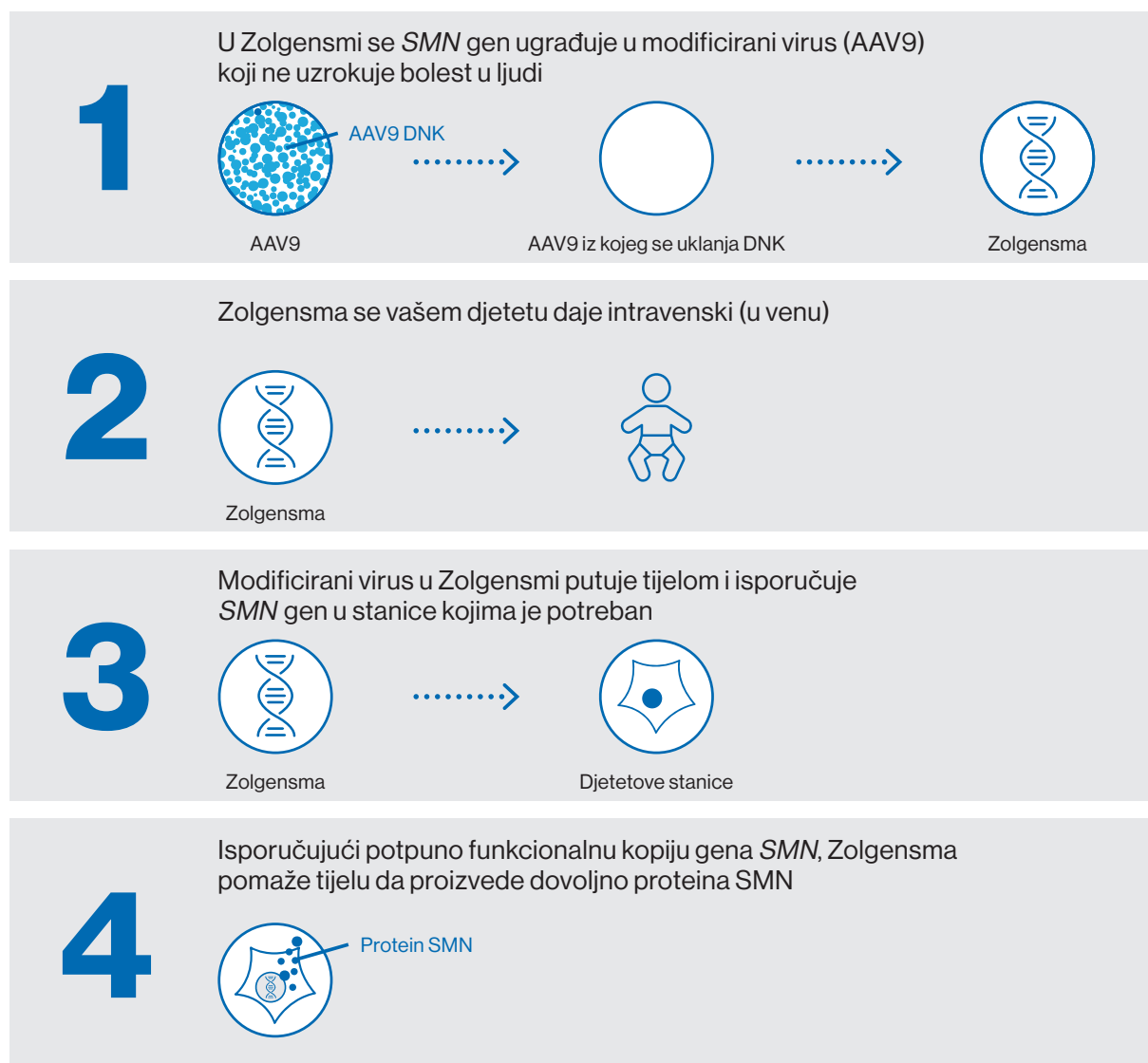
Osobe koje imaju jednu zdravu i jednu nefunkcionalnu kopiju *SMN1* gena nazivaju se nositeljima i obično ne pokazuju nikakve simptome SMA. Ako su oba roditelja nositelji, vjerojatnost je 25 % da će dijete oboljeti od SMA.



Što je Zolgensma

Zolgensma je terapija za dojenčad i malu djecu koja imaju spinalnu mišićnu atrofiju (SMA). Zolgensma je vrsta terapije koja se naziva „genska terapija“.

Zolgensma se proizvodi od modificiranog virusa, AAV9, koji sadrži potpuno funkcionalnu kopiju *SMN* gena (gena koji je neispravan u SMA-u). AAV9 virus u Zolgensmi koristi se da bi se kopija *SMN* gena isporučila u stanice kojima je potreban.



Zolgensma za uznapredovali SMA

Zolgensma može spasiti motoričke neurone koji su još živi i mogu rasti, ali ne može spasiti odumrle motoričke neurone. Djeca s manje teškim simptomima SMA-a mogla bi imati dovoljno živih motoričkih neurona da imaju koristi od liječenja Zolgensmom. Zolgensma možda neće tako dobro djelovati u djece s teškim simptomima.

Razumijevanje rizika Zolgensme

Kao i svi lijekovi, Zolgensma može uzrokovati nuspojave iako se one neće javiti kod svakoga.

Ako vaše dijete doživi bilo koju nuspojavu, odmah se obratite liječniku, medicinskoj sestri ili ljekarniku.



Važne sigurnosne informacije i kada zatražiti liječničku pomoć



Tegobe s jetrom

Obavijestite djetetov medicinski tim prije nego što dijete primi ovaj lijek ako ima ili je imalo bilo kakve tegobe s jetrom.

U nekim slučajevima Zolgensma može uzrokovati imunološki odgovor koji bi mogao dovesti do povišenja enzima (proteina u tijelu) koje proizvodi jetra ili do ozljede jetre. Ozljeda jetre može imati ozbiljne ishode, uključujući zatajenje jetre ili smrt. Mogući znakovi na koje trebate obratiti pozornost nakon što dijete primi ovaj lijek uključuju povraćanje, žuticu (žutu boju kože ili bjeloočnica) ili smanjenu pažnju. Odmah obavijestite djetetovog liječnika ako primijetite da je dijete razvilo bilo koje simptome koji ukazuju na ozljedu jetre.



Poremećeno zgrušavanje krvi

Zolgensma može povećati rizik od poremećenog zgrušavanja krvi u malim krvnim žilama (trombotična mikroangiopatija), općenito unutar prva dva tjedna nakon liječenja Zolgensmom. Ti krvni ugrušci mogu zahvatiti djetetove bubrege. Odmah obavijestite liječnika ako primijetite znakove i simptome kao što su lakše stvaranje modrica, napadaji ili smanjeno izlučivanje mokraće. Potrebno je iznimno pažljivo pratiti te znakove i simptome, jer je poremećeno zgrušavanje krvi (trombotska mikroangiopatija) ozbiljno stanje i može biti opasno po život ako se ne liječi.



Niski broj trombocita

Zolgensma može smanjiti razine trombocita (trombocitopenija), općenito unutar prva 3 tjedna nakon liječenja Zolgensmom. Mogući znakovi niske razine trombocita na koje trebate obratiti pozornost nakon što dijete primi Zolgensmu uključuju neuobičajeno stvaranje modrica ili krvarenje.

Obratite se liječniku ako primijetite znakove poput stvaranja modrica ili krvarenja u slučaju ozljede koji traju dulje nego inače.



Povišena razina troponina I

Zolgensma može povisiti razine srčanog proteina koji se naziva troponin I i koji može ukazivati na ozljedu srca. Morate paziti na moguće znakove srčanih tegoba nakon što dijete primi Zolgensmu, kao što su blijedo siva ili plava boja kože, poteškoće s disanjem (npr. ubrzano disanje, nedostatak zraka), oticanje ruku i nogu ili trbuha.

Vaše će dijete obaviti krvne pretrage da bi se provjerila jetrena funkcija, bubrežna funkcija, razina krvnih stanica (uključujući eritrocite i trombocite) i razina troponina I prije liječenja Zolgensmom. Tijekom najmanje 3 mjeseca nakon liječenja djetetu će se redovito obavljati krvne pretrage radi provjere jetrene funkcije i praćenja promjena u razinama trombocita i troponina I. Ovisno o vrijednostima te drugim znakovima i simptomima mogle bi biti potrebne daljnje pretrage, djetetov će liječnik odlučiti koliko će se dugo obavljati pretrage.



Pročitajte uputu o lijeku priloženu uz djetetov lijek za više informacija o Zolgensmi. Svakako se obratite djetetovom medicinskom timu ako imate bilo kakvih pitanja.



Alergije

Vaše dijete ne smije primiti Zolgensmu ako je alergično na bilo koji sastojak lijeka (sastojci su navedeni u dijelu 6. upute o lijeku priložene uz lijek).



Drugi lijekovi i Zolgensma

Zolgensma će se Vašem djetetu dati samo jednom. Obavijestite djetetova liječnika ili medicinsku sestru ako Vaše dijete uzima, nedavno je uzelo ili bi moglo uzeti bilo koje druge lijekove.



Cijepljenja

Budući da kortikosteroidi mogu utjecati na imunološki sustav tijela, liječnik Vašeg djeteta može odlučiti odgoditi određena cijepljenja dok dijete prima terapiju kortikosteroidom. Ako imate bilo kakvih pitanja, obratite se djetetovom liječniku ili medicinskoj sestri.



Infekcija

Vaše bi dijete moglo imati oslabljeni imunološki sustav zbog kortikosteroida, što znači da bi se moglo ozbiljno razboljeti od infekcija koje zdravi ljudi obično lako prebole. Ako se kod djeteta razvije infekcija (npr. prehlada, gripa ili bronhiolitis) **prije ili nakon** liječenja Zolgensmom, to bi moglo dovesti do ozbiljnijih komplikacija koje bi mogle zahtijevati hitnu medicinsku pomoć.

Odmah obavijestite djetetovog liječnika ako primijetite kod svog djeteta bilo koje znakove i simptome koji ukazuju na infekciju **prije** ili **nakon** liječenja Zolgensmom kao što su:

- kašalj
- kihanje
- grlobolja
- piskanje
- curenje nosa
- vrućica

Važno je spriječiti infekcije prije i nakon liječenja Zolgensmom, izbjegavanjem situacija koje bi mogle povećati rizik od infekcija kod djeteta. Vi i drugi koji imaju bliske kontakte s Vašim djetetom možete pomoći spriječiti infekcije pazeći na higijenu ruku, pravilno ponašanje kod kašljanja/kihanja i ograničavanjem potencijalnih kontakata.



Kortikosteroidi

Vaše će dijete primati i kortikosteroide (prednizolon ili ekvivalent) određeno vrijeme prije i nakon liječenja Zolgensmom. Koliko će dugo Vaše dijete primati kortikosteroide nakon liječenja Zolgensmom, ovisit će o razinama jetrenih enzima i drugim znakovima i simptomima, a o tome će odlučiti liječnik. To razdoblje može trajati najmanje 2 mjeseca.

Kortikosteroidi će pomoći u zbrinjavanju mogućih povišenja razina jetrenih enzima do kojih bi moglo doći kod Vašeg djeteta nakon imunološkog odgovora na Zolgensmu. Dozu kortikosteroida koju će dijete primati odredit će liječnik na temelju djetetove težine. Za vrijeme primanja kortikosteroida dijete bi moglo biti izloženo novim infekcijama ili drugim uobičajenim dječjim bolestima zbog kojih je potrebno primijeniti druge lijekove. Prije primjene bilo kojih drugih lijekova ili ako imate bilo kakva pitanja o kortikosteroidima, važno je da se obratite djetetovom liječniku, medicinskoj sestri ili ljekarniku/drugom zdravstvenom radniku

Ukratko, zatražite hitnu medicinsku pomoć ako se kod vašeg djeteta razviju sljedeći znakovi i simptomi:



- **Modrice ili krvarenje** dulje od uobičajenog ako se Vaše dijete ozlijedilo – to mogu biti znakovi niske razine trombocita (trombocitopenije).
- **Lakše stvaranje modrica, konvulzije (napadaji) ili smanjeno izlučivanje mokraće** – to mogu biti znakovi poremećenog zgrušavanja krvi u malim krvnim žilama (trombotična mikroangiopatija). Potrebno je posebno pažljivo paziti na te znakove i simptome zato što poremećeno zgrušavanje krvi može biti opasno po život ako se ne liječi.
- **Povraćanje, žutica** (žuta boja kože ili bjeloočnica) ili **smanjena pažnja** – to mogu biti znakovi mogućih problema s jetrom (uključujući zatajenje jetre).
- **Blijedo siva ili plava boja kože, poteškoće s disanjem** (npr. ubrzano disanje, nedostatak zraka), **oticanje ruku i nogu ili trbuha** – to mogu biti znakovi mogućih problema sa srcem.
- **Kašljanje, piskanje pri disanju u plućima, kihanje, curenje nosa, grlobolja ili vrućica** – to mogu biti znakovi infekcije (npr. prehlade, gripe ili bronhiolitisa).

Liječenje Zolgensmom

Koraci na narednim stranicama pomoći će Vama i Vašoj obitelji da razumijete što možete očekivati

1

Prije liječenja

2

Dan liječenja

3

Nakon liječenja

1. Prije liječenja

Kako bi lakše mogao odlučiti je li Zolgensma prikladna za Vaše dijete, liječnik će napraviti test na protutijela prije liječenja



Test na protutijela na AAV9

Protutijela proizvodi imunološki sustav tijela kako bi pomogla u zaštiti od bolesti. Prisutnost određenih protutijela, koja se nazivaju protutijela na AAV9, može uzrokovati imunološki odgovor Vašeg djeteta na Zolgensmu. Kako bi mu pomoglo odlučiti je li Zolgensma prikladna za Vaše dijete, djetetov će liječnik provesti testove na protutijela prije liječenja.

Vaše bi dijete moglo imati povišena protutijela na AAV9. Ako se radi o novorođenčetu, moguće je da su protutijela prešla s majke na dijete za vrijeme trudnoće, a takva će se povišenja često smanjiti tijekom vremena nakon poroda. Ako Vaše dijete ima povišena protutijela na AAV9 nakon prvog testa, moći će se ponovno testirati nakon nekog vremena. Ako imate bilo kakvih pitanja, obratite se djetetovom liječniku.



Krvne pretrage

Prije liječenja Zolgensmom, Vašem će se djetetu napraviti krvne pretrage kako bi se provjerile i utvrdile početne razine za:

- jetrenu funkciju
- bubrežnu funkciju
- količinu krvnih stanica (uključujući eritrocite i trombocite)
- troponin I.

Ta će mjerenja pomoći liječniku da prati razine kod Vašeg djeteta nakon liječenja Zolgensmom.



Kortikosteroidi

24 sata prije početka liječenja Zolgensmom, Vaše će dijete dobiti kortikosteroide (prednizolon ili ekvivalent) radi zbrinjavanja mogućih povišenja jetrenih enzima.

Dozu kortikosteroida koje će Vaše dijete primiti odredit će liječnik na temelju djetetove težine. Kako bi se osiguralo da Vaše dijete ne propusti dozu kortikosteroida, obavijestite djetetovog liječnika, medicinsku sestru ili ljekarnika u slučaju povraćanja prije liječenja Zolgensmom.



Infekcija

Važno je odmah obavijestiti djetetovog liječnika, medicinsku sestru ili ljekarnika ako dijete razvije simptome koji ukazuju na infekciju **prije** ili **nakon** Zolgensme. Ako dijete razvije bilo kakve znakove i simptome koji ukazuju na infekciju prije liječenja Zolgensmom, možda će biti potrebno odgoditi infuziju dok se infekcija ne povuče. Ako dijete razvije simptome nakon liječenja Zolgensmom, to bi moglo dovesti do medicinskih komplikacija koje bi mogle zahtijevati hitnu medicinsku pomoć. Vidjeti 12. stranicu za znakove moguće infekcije.



Opće zdravstveno stanje

Prije liječenja Zolgensmom važno je da je djetetovo zdravstveno stanje dovoljno dobro, jer u suprotnom će možda trebati odgoditi liječenje. To uključuje dovoljnu hidraciju, dobru prehranu i nepostojanje aktivnih infekcija. Ako ste zabrinuti oko djetetovog općeg zdravstvenog stanja prije liječenja Zolgensmom, obratite se djetetovom liječniku ili medicinskoj sestri.

2. Dan liječenja

Medicinski tim Vašeg djeteta pobrinut će se da znate točno što možete očekivati na dan liječenja i kako se pripremiti.



Prednizolon

Prva doza kortikosteroida (prednizolona ili ekvivalenta) dat će se Vašem djetetu 24 sata prije liječenja Zolgensmom. Vidjeti 14. stranicu za informacije o doziranju kortikosteroida prije liječenja Zolgensmom.

Na dan liječenja dijete će dobiti drugu dozu peroralnih kortikosteroida (prednizolona ili ekvivalenta) kako su propisani. Režim doziranja kortikosteroida važan je za zbrinjavanje mogućih povišenja razina jetrenih enzima i nastavit će se neko vrijeme nakon liječenja. Na 18. stranici navedene su informacije o doziranju kortikosteroida nakon liječenja Zolgensmom.

Kako bi se osiguralo da Vaše dijete ne propusti dozu kortikosteroida, obavijestite djetetova liječnika, medicinsku sestru ili ljekarnika u slučaju povraćanja nakon primjene kortikosteroida.



Zolgensma će se Vašem djetetu dati samo JEDNOM



Infuzija Zolgensme

Zolgensma će se Vašem djetetu dati kao jednokratna intravenska infuzija. To uključuje postavljanje katetera (plastične cjevčice) u jednu od djetetovih vena s pomoću igle. Sekundarni, rezervni kateter također će se postaviti za slučaj bilo kakve blokade u primarnom kateteru. Infuziju će primijeniti liječnik ili medicinska sestra educirani za liječenje SMA-a. Infuzija će trajati oko 60 minuta.

Količinu Zolgensme koju će Vaše dijete primiti odredit će liječnik na temelju djetetove težine.

3. Nakon liječenja

Trajanje hospitalizacije nakon liječenja Zolgensmom odredit će djetetov liječnik. Ako imate bilo kakvih pitanja, obratite se medicinskom timu Vašeg djeteta.



Moguće nuspojave

Kao i svi lijekovi, ovaj lijek može uzrokovati nuspojave iako se one neće javiti kod svakoga.

Zatražite hitnu medicinsku pomoć ako u vašeg djeteta nastupi bilo koja od sljedećih ozbiljnih nuspojava ili simptoma



- **Modrice ili krvarenje** duže od uobičajenog ako se Vaše dijete ozlijedi – to mogu biti znakovi niskog broja trombocita (trombocitopenija).
- **Lakše stvaranje modrica, konvulzije** (napadaji) ili **smanjeno izlučivanje mokraće** – to mogu biti znakovi poremećenog zgrušavanja krvi u malim krvnim žilama (trombotična mikroangiopatija). Potrebno je posebno paziti na te znakove i simptome, budući da poremećeno zgrušavanje krvi može biti opasno po život ako se ne liječi.
- **Povraćanje, žutica** (žuta boja kože ili bjeloočnica) ili **smanjena pažnja** – to mogu biti znakovi problema s jetrom (uključujući zatajenje jetre).
- **Blijedo siva ili plava boja kože, poteškoće s disanjem** (npr. ubrzano disanje, nedostatak zraka), **oticanje ruku i nogu ili trbuha** – to mogu biti znakovi problema sa srcem.
- **Kašljanje, piskanje pri disanju u plućima, kihanje, curenje nosa, grlobolja ili vrućica** – to mogu biti znakovi infekcije (npr. prehlade, gripe ili bronholitisa).

Odmah se obratite medicinskom timu Vašeg djeteta ako se u djeteta pojave bilo koje druge nuspojave. One mogu uključivati:

Vrlo često (mogu se javiti u više od 1 na 10 osoba)

- Povišenja razine jetrenih enzima vidljiva na krvnim pretragama.

Često (mogu se javiti u do 1 na 10 osoba)

- Povraćanje
- Vrućica

Prijavljivanje nuspojava

Prijavljivanje nuspojava opisano je na 26. stranici ovog Vodiča.



Kortikosteroidi

Vaše će dijete svakodnevno primati terapiju kortikosteroidima tijekom oko 2 mjeseca nakon primanja Zolgensme. To se razdoblje može produžiti ako se razine djetetovih jetrenih enzima ne snize dovoljno brzo, odnosno dok se ne snize na prihvatljivu razinu. Doza kortikosteroida koja se daje Vašem djetetu polako će se smanjivati tijekom toga razdoblja sve dok se terapija ne bude mogla potpuno obustaviti.

Medicinski tim Vašeg djeteta odlučit će i objasniti kada i kako će obustaviti ovu terapiju. Kako bi se osiguralo da Vaše dijete ne propusti dozu kortikosteroida, obavijestite djetetovog liječnika, medicinsku sestru ili ljekarnika u slučaju povraćanja ili bilo koje propuštene doze (**iz bilo kojeg razloga**) nakon liječenja Zolgensmom.

Ako imate bilo kakvih pitanja o kortikosteroidima, obratite se djetetovom liječniku ili medicinskoj sestri.



Redovite kontrole

Nakon liječenja Zolgensmom Vaše će dijete i dalje biti pod redovnim nadzorom posebnog zdravstvenog tima. Dijete će morati obavljati kontrole prema potrebi, bilo da se radi o općenitim kontrolama, ako dijete razvije bilo kakve nuspojave, ili ako imate bilo kakvih zabrinutosti ili pitanja.

Nužno je i bit će osigurano odgovarajuće standardno liječenje za bolesnike sa SMA-om, što uključuje i suportivnu skrb. Važno je da razgovarate s djetetovim liječnikom o tome kako će zdravstveni tim i dalje pratiti Vaše dijete.



Redovne krvne pretrage

Nakon liječenja Zolgensmom, Vaše će dijete redovito obavljati krvne pretrage radi provjere:

- jetrene funkcije – te će se pretrage obavljati tijekom najmanje 3 mjeseca nakon liječenja radi praćenja povišenja razine jetrenih enzima. Ako se djetetova jetrena funkcija pogorša nakon liječenja Zolgensmom, ili ako dijete pokazuje bilo kakve znakove bolesti, liječnik će hitno provjeriti djetetovo stanje i pažljivo ga pratiti.
- broja trombocita i troponina I – te će se pretrage obavljati neko vrijeme nakon liječenja radi praćenja promjena u razinama trombocita i troponina I.

Ovisno o rezultatima tih krvnih pretraga, kao i o drugim znakovima i simptomima, možda će biti potrebne daljnje pretrage. Važno je pažljivo slijediti raspored krvnih pretraga i odmah obavijestiti djetetov zdravstveni tim o svim znakovima i simptomima koji se eventualno pojave kod djeteta nakon primanja lijeka.



Zbrinjavanje otpadnih tvari iz djetetova tijela

Dio djelatne tvari u Zolgensmi može se izlučiti kroz otpadne tvari iz djetetova tijela nakon liječenja. Vi i druge osobe koje brinu za Vaše dijete trebate se pridržavati higijene ruku kako je navedeno u nastavku **tijekom najmanje 1 mjeseca** nakon što dijete primi Zolgensmu.



Nosite zaštitne rukavice kad dolazite u direktan kontakt s djetetovim tjelesnim tekućinama (mokraćom) ili otpadnim tvarima (stolicom).



Nakon toga **temeljito operite ruke** sapunom i toplom tekućom vodom ili dezinficijensom za ruke na bazi alkohola.



Koristite dvostruke plastične vrećice za odlaganje prljavih pelena i drugog otpada. Pelene za jednokratnu uporabu i dalje se mogu odlagati u kućni otpad.

U slučaju bilo kakvih pitanja o postupanju s otpadnim tvarima iz tijela Vašeg djeteta, obratite se djetetovom liječniku, medicinskoj sestri ili ljekarniku.

Supportivna skrb

Iako Zolgensma isporučuje potpuno funkcionalnu kopiju gena *SMN*, Vaše dijete i dalje ima SMA. Dodatne suportivne terapije koje se koriste u njezi osoba sa SMA-om uključuju:



Ortopedske terapije



Fizioterapiju



Potporu u prehrani,
jedenju i pijeđu



Potporu disanju,
primjerice s maskom
za spavanje



Sprječavanje infekcija
dišnih puteva (npr.
prevencija gripe i upale
pluća cijepljenjem)



Uklanjanje sekreta
iz dišnih puteva

Djetetov zdravstveni tim radit će s Vama kako bi se osiguralo zbrinjavanje djetetovih potreba za suportivnom skrbi.



Kada zatražiti liječničku pomoć

Zatražite hitnu liječničku pomoć u bilo kojoj od sljedećih okolnosti:



U nekim slučajevima, Zolgensma može utjecati na funkciju jetre i dovesti do ozljede jetre. Mogući znakovi na koje morate paziti nakon što Vaše dijete primi ovaj lijek uključuju **povraćanje, žuticu** (žutu boju kože ili bjeloočnica) ili **smanjenu pažnju**.

Zolgensma može sniziti broj trombocita (trombocitopenija). Obratite se liječniku ako vidite znakove kao što su **stvaranje modrica** ili **krvarenje** dulje od uobičajenog ako se Vaše dijete ozlijedilo.

Zolgensma može povećati rizik od poremećenog zgrušavanja krvi u malim krvnim žilama (trombotična mikroangiopatija). Odmah se obratite liječniku ako vidite znakove i simptome kao što su **lakše stvaranje modrica, konvulzije** (napadaji) ili **smanjeno izlučivanje mokraćne**.

Zolgensma može uzrokovati povišene razine proteina specifičnog za srce koji se naziva „troponin I“ i može ukazivati na ozljedu srca. Odmah se obratite liječniku ako vidite znakove i simptome kao što su **blijedo siva ili plava boja kože, poteškoće s disanjem** (npr. ubrzano disanje, nedostatak zraka) ili **oticanje ruku i nogu ili trbuha**.

Obratite se liječniku u slučaju **povraćanja prije ili nakon liječenja** Zolgensmom, kako bi se osiguralo da Vaše dijete ne propusti dozu kortikosteroida (prednizolona ili ekvivalenta).

Odmah se obratite liječniku ako se u Vašeg djeteta razviju bilo kakvi znakovi i simptomi koji ukazuju na infekciju (npr. prehlade, gripe ili bronhiolitisa) prije ili nakon liječenja Zolgensmom, jer bi to moglo dovesti do drugih ozbiljnijih komplikacija koje bi mogle zahtijevati hitnu medicinsku pomoć. Znakovi na koje treba paziti su **kašljanje, piskanje pri disanju u plućima, kihanje, curenje nosa, grlobolja** ili **vrućica**.

Kontakt podaci liječnika

Tim zdravstvenih radnika i dalje će trebati nastaviti pratiti Vaše dijete nakon infuzije lijeka Zolgensma. Ako ste oko bilo čega zabrinuti i želite razgovarati s djetetovim liječnikom ili zdravstvenim timom, možete u nastavku zapisati njihove kontakt podatke.

Ime i prezime:

Funkcija:

Broj za kontakt:

E-mail za kontakt:

Ime i prezime:

Funkcija:

Broj za kontakt:

E-mail za kontakt:

Ime i prezime:

Funkcija:

Broj za kontakt:

E-mail za kontakt:

Ime i prezime:

Funkcija:

Broj za kontakt:

E-mail za kontakt:

Lokalne udruge

Postoje brojne udruge bolesnika diljem svijeta koje mogu pružiti potporu Vama i Vašem djetetu sa SMA-om. Mogu Vam dati informacije o SMA-u, najnovijim istraživanjima i podršci u zajednici.

Popis lokalnih udruuga:

Kolibrići

Udruga za rijetke bolesti

Udruga distrofičara

Česti pojmovi koje je potrebno znati

Adenoasocirani virus 9 (AAV9)

Adenoasocirani virus 9 (AAV9) je vrsta virusa. AAV9 se može modificirati tako da ne uzrokuje bolest u ljudi. U Zolgensmi je modificirani AAV9 vektor koji se koristi za isporučivanje potpuno funkcionalne kopije gena *SMN*.

Atrofija

Atrofija znači propadanje ili smanjivanje. Primjerice, mišić koji propada naziva se atrofirani mišić.

Deoksiribonukleinska kiselina (DNK)

DNK, ili deoksiribonukleinska kiselina, nasljedni je materijal u ljudi i gotovo svih ostalih organizama. Skoro svaka stanica u tijelu ima isti DNK.

Geni

Geni su skup uputa koje tijelu mogu reći kako proizvoditi proteine. Geni se javljaju u parovima; po jedna se kopija nasljeđuje od svakog roditelja.

Genetska bolest

Medicinsko stanje koje je uzrokovano neispravnim ili nepostojećim genom ili genima. Genetske su bolesti nasljedne. SMA je primjer genetske bolesti.

Genska terapija

Genska terapija je način liječenja ili sprječavanja progresije neke bolesti s pomoću gena. Postoje različite vrste genske terapije koje djeluju na različite načine. One uključuju zamjenu ili popravak nepostojećih ili neispravnih gena; dodavanje novog gena koji će pomoći boljem djelovanju nekog drugog lijeka; ili prekidanje uputa iz nekog gena koji proizvodi previše proteina koji zatim postaje toksičan za tijelo.

Gen *SMN1*

Gen *SMN1* primarni je gen *SMN*, koji proizvodi protein SMN potreban motoričkim neuronima da funkcioniraju kako treba. Kod osoba sa SMA-om obje su kopije ovoga gena neispravne ili nedostaju. To znači da stanice tijela ne mogu proizvoditi dovoljno proteina SMN.

Gen *SMN2*

Gen *SMN2* djeluje kao „rezerva“ za podršku proizvodnji proteina SMN. *SMN2* proizvodi samo malu količinu funkcionalnog proteina SMN.

Intravenska infuzija

Infuzija u venu koristeći kateter (plastičnu cjevčicu) koji se uvodi u venu s pomoću igle.

Kortikosteroidi

Kortikosteroidi su vrsta lijekova koji potiskuju imunološki sustav kako bi pomogli u zbrinjavanju mogućih povišenja razina jetrenih enzima nakon liječenja Zolgensmom.

Moždano deblo

Moždano deblo dio je mozga koji podupire ključne funkcije u tijelu uključujući disanje i spavanje. Moždano deblo povezuje kralježničnu moždinu s ostatkom mozga.

Motorički neuron

Ovi posebni živci prenose signale iz mozga do mišića za kontrolu pokreta.

Postoje dvije vrste motoričkih neurona: gornji motorički neuroni koji prenose signale od mozga do moždanog debla i kralježnične moždine te donji motorički neuroni koji prenose signale od gornjih motoričkih neurona do mišića.

Nuspojava

Nuspojava je sekundarni i obično neželjeni učinak nekog lijeka.

Prednizolon

Prednizolon je vrsta lijeka koji se naziva kortikosteroid, a pomaže u zbrinjavanju mogućeg povišenja razine jetrenih enzima nakon liječenja Zolgensmom.

Proteini

Proteini su važne molekule uključene u gotovo sve funkcije u tijelu. Proteini pomažu izgraditi stanice u tijelu, a ujedno pomažu stanicama da prenose i proizvode važne tvari, obnavljaju se i preživljavaju.

Protein SMN (engl. *survival motor neuron*)

Protein SMN ključan je za pravilno funkcioniranje i preživljavanje motoričkih neurona. Bez dovoljno proteina SMN, motorički neuroni propadaju i prestaju funkcionirati. Protein SMN proizvodi tijelo iz gena *SMN*.

Protutijela

Protutijela proizvodi imunološki sustav tijela kako bi pomagala u zaštiti tijela od bolesti. Svaka je vrsta protutijela jedinstvena i brani tijelo od specifične vrste bolesti.

Spinalna mišićna atrofija (SMA)

Spinalna mišićna atrofija (SMA) je rijetka bolest koja uzrokuje postupno slabljenje mišića zato što specijalizirane živčane stanice u tijelu koje kontroliraju pokrete mišića, tzv. motorički neuroni, prestanu funkcionirati. Motorički neuroni propadaju i prestanu funkcionirati zato što nemaju dovoljno proteina SMN.

Trombociti

Vrsta stanica u krvi koje su odgovorne za zgrušavanje krvi.

Prijavljivanje nuspojava

Ako primijetite bilo koju nuspojavu, potrebno je obavijestiti liječnika, ljekarnika ili medicinsku sestru. To uključuje i svaku moguću nuspojavu koja nije navedena u uputi o lijeku. Nuspojave možete prijaviti izravno Agenciji za lijekove i medicinske proizvode (HALMED) putem internetske stranice www.halmed.hr ili potražite HALMED mobilnu aplikaciju putem Google Play ili Apple App Store trgovine. Prijavljivanjem nuspojava možete pridonijeti u procjeni sigurnosti ovog lijeka.

