

זולג'נסמה

תרחיף לעירוי תוך-וריד

הרכב

החומר הפעיל: אונסמנוגן אבפרובוק
Onasemnogene abeparovoc

כל בקבוקון מכיל: 2.0×10^{13} vg/mL

לרשימה של החומרים הבלתי פעילים ראה סעיף 6 "מידע נוסף".
קרא בעיון את העלון עד סופו בטרם תשתמש בתרופה. עלון זה מכיל מידע תמציתי על התרופה. אם יש לך שאלות נוספות, פנה אל הרופא או אל הרוקח. תרופה זו נרשמה לטיפול עבור ילדך. אל תעביר אותה לאחרים. היא עלולה להזיק להם אפילו אם נראה לך כי מחלתם דומה.

בנוסף לעלון, לתכשיר זולג'נסמה קיים כרטיס מידע בטיחותי למטופל - עלון הדרכה להורים. כרטיס זה מכיל מידע בטיחותי חשוב, שעליך לדעת לפני תחילת הטיפול ובמהלך הטיפול בזולג'נסמה ולפעול על פיו. יש לעיין בכרטיס מידע בטיחותי למטופל ובעלון לצרכן בטרם תחילת השימוש בתכשיר. יש לשמור את הכרטיס לעיון נוסף בעת הצורך.

אזהרה: פגיעה כבדית חריפה חמורה, אי ספיקת כבד חריפה או עלייה באנזימי כבד.

התרופה עלולה לגרום לעלייה ברמות אנזימי כבד, נזק חמור לכבד או אי ספיקת כבד חריפה. דווחו במקרים של אי ספיקת כבד חריפה שהסתיימו במות. מטופלים עם ליקוי קיים בתפקוד הכבד עשויים להיות בסיכון מוגבר.

לפני הזרקת התרופה יש לבצע בדיקת תפקודי כבד. מסיבה זו יש לתת למטופל תרופה סטרואידית בבליעה החל מיום לפני הטיפול בזולג'נסמה, ובמשך 30 יום נוספים לפחות לאחר מתן הטיפול החד-פעמי. לאחר הטיפול, המטופל יעבור סדרת בדיקות דם שגרתיות בכדי לנטר את תפקודי הכבד. יש לנטר תפקודי הכבד לפחות 3 חודשים לאחר מתן הטיפול, וזמנים ארוכים יותר בהתאם לשיקול קליני.

1. למה מיועדת התרופה?

זולג'נסמה הינה טיפול גנטי שמכיל וקטור ויראלי ומיועדת לטיפול בילדים עד גיל שנתיים, המאובחנים כחולים ב-SMA (ניוון שרירי שידרתי) עם מוטציה בגן **SMN1**.

קבוצה תרופוטית: תכשירים לריפוי גני.

כיצד התרופה פועלת:

מחלת ה-SMA נובעת מפגם בגן הנקרא SMN1. הפגם בגן זה מוביל לייצור בלתי מספיק של חלבון הנקרא SMN. זולג'נסמה הינה טיפול גנטי, היא מכילה וקטור ויראלי שמעביר את הגן המקודד לחלבון החסר. לאחר מתן זולג'נסמה, הגוף יוכל לייצר את החלבון החסר בכמות מספיקה ובצורה תקינה.

2. לפני השימוש בתרופה

אין להשתמש בתרופה

אם ילדך רגיש (אלרגי) לחומר הפעיל (Onasemnogene abeparovoc) או לכל אחד מהמרכיבים הנוספים אשר מכילה התרופה (כמפורט בסעיף 6).

אזהרות מיוחדות הנוגעות לשימוש בתרופה

פגיעה כבדית חריפה חמורה

התרופה עלולה לגרום לבריחה ברמות אנזימי כבד, נזק חמור לכבד או אי ספיקת כבד חריפה, שעלולים לגרום למצבים מסכני חיים ואף להסתיימו במות. מטופלים עם ליקוי קיים בתפקוד הכבד עשויים להיות בסיכון מוגבר.

לפני הזרקת התרופה יש לבצע בדיקת תפקודי כבד. מסיבה זו יש לתת למטופל תרופה סטרואידית בבליעה החל מיום לפני הטיפול בזולג'נסמה, ובמשך 30 יום נוספים לפחות לאחר מתן הטיפול החד-פעמי. לאחר הטיפול, המטופל יעבור סדרת בדיקות דם שגרתיות בכדי לנטר את תפקודי הכבד. יש לנטר תפקודי הכבד לפחות 3 חודשים לאחר מתן הטיפול, וזמנים ארוכים יותר בהתאם לשיקול קליני.

יש ליידע את הרופא המטפל במקרים של גזון עור או עיניים צהבהב, כאשר המטופל מפגש מתן סטרואידים או כאשר הוא מקיא אותה או אם המטופל חווה ירידה בעירנות.

מחלות זיהומיות (כגון צינון, שפעת, דלקת קימפונות - ברונכיוליטיס, דלקת באוזן תיכונה, דלקת קיבה ומעי [גסטרואינטסטיס]) לפני או אחרי הטיפול בזולג'נסמה עלולה להוביל לסיבוכים חמורים. יש לשים לב לסימנים אפשריים למחלות אלו כגון שיעול, חרחורים, התעטשויות, נזלת, כאבי גרון או חום. יש ליידע את הרופא המטפל מיד במקרים של הופעת תסמינים מצביעים על זיהום אפשרי.

תרומבוציטופניה – רמה נמוכה של תסיות

זולג'נסמה עלולה להביא לירידה בספירת התסיות בדם ולגרום לעלייה בסיכון להופעת חבלות או דימומים. יש לבצע ספירת תסיות בכל שבוע במשך החודש הראשון לטיפול ולאחר מכן כל שבועיים במשך החודש השני והשלישי עד שרמת התסיות יושגת חזרה לנורמה.

יש ליידע את הרופא המטפל במקרים של סימני חבלה ("מכות כחולות") או דימום.

מיקרואנגיופטיה טרומבוטית (TMA)

יש ליידע את ההורים והמטפלים כי זולג'נסמה עשויה להוריד את רמות התסיות בדם כמו גם את ספירת הכדוריות האדומות, עשויה לגרום לפגיעה כלייתית חריפה, ועלייה בסיכון לדמם וחבלות. סימפטומים אלו עשויים להצביע על TMA. יש ליידע את ההורים והמטפלים כי TMA הינה תופעה שדווחה תחת טיפול בזולג'נסמה, ועשויה להתרחש כשבוע לאחר עירוי בזולג'נסמה. יש לעדכן את ההורים והמטפלים לפנות מיד לרופא המטפל באם ישנה הופעה של חבורות או דמם, פרכוס או ירידה במתן שתן לאחר הטיפול בזולג'נסמה.

רמות טרופונין-I (חלבון הקשור לפעילות הלב)

תתכן עלייה ברמות בדם של חלבון זה. לכן בדיקה לרמת החלבון תבוצע כל שבוע בחודש הראשון לאחר הטיפול ולאחר מכן פעם בחודש, בחודש השני והשלישי, עד שהרמות חוזרות לנורמה.

טיפול בהפרשות הגוף

זולג'נסמה מתפנה מהגוף בעיקר דרך הפרשות המטופל. לכן, במשך חודש לאחר העירוי, חיתולים עם צואה יש לשים בשתי שקיות פלסטיק ולזרוק בפח רגיל. כמו כן יש להקפיד על שטיפת ידיים לאחר מגע עם צואה, הפרשות ונוזלי גוף.

מתן בפגים

מתן זולג'נסמה לפגים לפני הגעתם לגיל הלידה המלא אינו מומלץ כיוון שהטיפול הנלווה הנדרש בסטרואידים עשוי לפגוע בהתפתחותם הנורולוגית.

בדיקות מעקב

לפני ולאחר מתן עירוי זולג'נסמה, הרופא יפנה את ילדך לבדיקות:

- תפקודי כבד (ראה פירוט באזהרה שלעיל).
- ספירת תסיות וטרופונין-I (ראה פירוט באזהרה שלעיל).
- נוכחות נוגדני אנטי-AAV9.

אינטראקציות/תגובות בין תרופות

יש להתייעץ עם הרופא לגבי מועד קבלת חיסון לפני מתן התרופה ולאחריה, ובמיוחד בחיסונים MMR (חצבת, חזרת, אדמת), varicella (אבעבועות רוח) וחסיון מניעתי נגד RSV (נגיף נשימתי סיניצילי) עונתי.

הריון, הנקה ופוריות

אין מידע על שימוש בתכשיר בנשים הרות. אין מידע על שימוש בנשים מניקות ועל הימצאות התכשיר בחלב אם, ומה השפעתו על התינוק. לא נערכו מחקרים להעריך השפעת התכשיר על פוריות המטופל.

מידע חשוב על חלק מהמרכיבים של התרופה

זולג'נסמה מכילה נתרן (Sodium) בכמות של 4.6 מ"ג נתרן בכל מ"ל של התרופה. כמות זו היא 0.23% מהכמות המקסימלית המומלצת למבוגר, שהיא 2 גרם נתרן, על פי ארגון הבריאות העולמי (WHO). כל בקבוקון של 5.5 מ"ל מכיל 25.3 מ"ג נתרן, וכל בקבוקון של 8.3 מ"ל מכיל 38.2 מ"ג נתרן.

3. כיצד תשתמש בתרופה?

יש להשתמש בתרופה תמיד בהתאם להוראות הרופא. המינון ומשטר הטיפול ייקבעו על ידי הרופא בלבד.

זולג'נסמה תוזרק לילדך ע"י רופא או אחות המנוסים בטיפול במצבו הרפואי של ילדך.

הכמות של זולג'נסמה שילדך יקבל תחושב על ידי הרופא של ילדך לפי משקלו של ילדך. המנה מחושבת ביחידות הנקראות vector genomes.

המינון המקובל הוא: 1.1×10^{14} vector genomes לכל קילוגרם משקל גוף.

המנה תינתן בהזרקה תוך-ורידית בעירוי חד-פעמי שיימשך כשעה אחת.

אין לעבור על המנה המומלצת.

אם יש לך שאלות נוספות בנוגע לשימוש בתרופה, היוועץ ברופא או ברוקח.

4. תופעות לוואי

כמו בכל תרופה, השימוש בזולג'נסמה עלול לגרום לתופעות לוואי בחלק מהמשתמשים. אל תיבהל למקרא רשימת תופעות הלוואי. ייתכן וילדך לא יסבול מאף אחת מהן.

תופעות לוואי שכיחות (common) - המופיעות ב- 10-1 משתמשים מתוך 100:
עלייה באנזימי כבד והקאות.

תופעות לוואי שדווחו לאחר שיווק (שכיחות אינה ידועה)
אי ספיקת כבד חריפה (כולל מקרי מוות), פגיעה כבדית חריפה, חום, עלייה ברמת החלבון טרופונין, תרומבוציטופניה (רמה נמוכה של תסיות), מיקרואנגיופטיה טרומבוטית

אם הופיעה תופעת לוואי, אם אחת מתופעות הלוואי מחמירה או כאשר אתה סובל מתופעות לוואי שלא צוינו בעלון, עליך להתייעץ עם הרופא.

דיווח על תופעות לוואי

ניתן לדווח על תופעות לוואי למשרד הבריאות באמצעות לחיצה על הקישור "דיווח על תופעות לוואי עקב טיפול תרופתי" שנמצא בדף הבית של אתר משרד הבריאות (www.health.gov.il) המפנה לטופס המקוון לדיווח על תופעות לוואי, או על ידי כניסה לקישור: <https://sideeffects.health.gov.il/>

5. איך לאחסן את התרופה?

מנע הרעלה! תרופה זו וכל תרופה אחרת יש לשמור במקום סגור מחוץ לרישית ידם וטווח הראייתם של ילדים ו/או תינוקות ועל ידי כך תמנע הרעלה. אל תגרום להקאה ללא הוראה מפורשת מהרופא.
תנאי אחסון: משלוח התרופה מגיע קפוא. מיד עם קבלת התרופה המשווקת יש לאחסן אותה במקרר, בטמפרטורה - 2°C-8°C. זולג'נסמה יציבה למשך 14 ימים כאשר היא מאוחסנת במקרר. אין להקפיא את התרופה מחדש. יש להשתמש תוך 14 ימים ממועד קבלת משלוח התרופה.

אין לנער. יש לאחסן באריזה המקורית עד השימוש.

6. מידע נוסף

נוסף על החומר הפעיל, התרופה מכילה גם:

Water for Injection, Sodium Chloride, Tromethamine, Magnesium Chloride, Poloxamer 188, Hydrochloric Acid.

כיצד נראית התרופה ומה תוכן האריזה: התרופה כוללת קיט המכיל 2-9 בקבוקונים.

בעל הרישום והיבואן: נוברטיס ישראל בע"מ, ת"ד 7126, תל אביב.

מספר הרישום של התרופה בפנקס התרופות הממלכתי במשרד הבריאות: 36125 165 75

נערך בספטמבר 2022 בהתאם להנחיות משרד הבריאות. לשם הפשטות ולהקלת הקריאה, עלון זה נוסח בלשון זכר. על אף זאת התרופה מיועדת לבני שני המינים.