

עלון הדרכה להורים

Zolgensma - זולג'נסמה

עירוני תוך-ורידי

הרכב:

Onasemnogene abeparvovec

כל בקבוקון מכיל: 2.0×10^{13} vg/mL

עלון זה מכיל מידע תמציתי על התרופה. אם יש לך שאלות נוספות, פנה אל הרופא או אל הרוקח.

למי מיועדת התרופה?

זולג'נסמה מיועדת לטיפול בילדים עד גיל שנתיים, המאובחנים כחולי SMA עם או ללא תסמינים של המחלה;

התרופה ניתנת במנה בודדת, בעירוני תוך-ורידי.

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 את הגן המקודד לחלבון החסר. לאחר מתן זולג'נסמה, הגוף יוכל לייצר את החלבון החסר בכמות מספיקה ובצורה תקינה.

אזהרות מיוחדות ותופעות לוואי הנוגעות לשימוש בתרופה

1. פגיעה כבדית חריפה חמורה, אי ספיקת כבד חריפה או עלייה ברמות אנזימי כבד

התרופה עלולה לגרום לעלייה ברמות של אנזימי הכבד, נזק חמור לכבד או אי ספיקת כבד חריפה. אי ספיקת כבד חריפה עשויה לגרום למצבים מסכני חיים ואף להסתיים במוות. מסיבה זו, תינתן תרופה קורטיקוסטרואידית החל מיום לפני הטיפול בזולג'נסמה, ובמשך 30 יום נוספים לפחות לאחר מתן הטיפול החד פעמי. הטיפול בקורטיקוסטרואידים יופסק בצורה הדרגתית.

לאחר קבלת הטיפול בזולג'נסמה, המטופל יעבור סדרת בדיקות דם שגרתיות בכדי לנטר את תפקודי הכבד במשך לפחות שלושה חודשים וזמנים ארוכים יותר בהתאם לשיקול קליני:

- פעם בשבוע במשך החודש הראשון לאחר הטיפול בזולג'נסמה
- פעם בשבוע במהלך תקופת הפסקה הדרגתית של קורטיקוסטרואידים, או בתדירות גבוהה יותר בהתאם לשיקול קליני
- אם המטופל יציב קלינית עם תוצאות בדיקות תקינות בסיום תקופת הפסקה הדרגתית של קורטיקוסטרואידים, יש להמשיך לנטר את תפקודי הכבד פעם בשבועיים למשך חודש נוסף

יש ליידע את הרופא המטפל במקרים של גוון עור או עיניים צהבהב, כאשר המטופל מפספס מנת סטרואידים או כאשר מקיא אותה או אם המטופל חווה ירידה בעירנות.

בהתאם לתוצאות הבדיקות, תסמינים אחרים או שיקול דעתו הקלינית של הרופא, ייתכן שיידרשו בדיקות נוספות.

2. חיסון לפני מתן התרופה ולאחריה

יש להתייעץ עם הצוות הרפואי לגבי מועדי החיסונים הסמוכים לזמן מתן הסטרואידים.

3. מחלות זיהומיות

מחלות זיהומיות (כגון: צינון, שפעת, דלקת סימפונות - ברונכיוליטיס, דלקת באוזן תיכונה, דלקת קיבה ומעי) לפני או אחרי הטיפול בזולג'נסמה עלולות להוביל לסיבוכים חמורים. יש לשים לב לסמנים אפשריים למחלות אילו כגון שיעול, חרחורים, התעטשויות, נזלת, כאבי גרון או חום. יש ליידע את הרופא המטפל מייד במקרים של תסמינים המצביעים על זיהום אפשרי.

4. תרומבוציטופניה - רמה נמוכה של טסיות

זולג'נסמה עלולה להביא לירידה בספירת הטסיות בדם ולגרום לעלייה בסיכון להופעת חבלות או דימומים. יש ליידע את הרופא המטפל במקרים של סימני חבלה ("מכות כחולות") או דימום. יש לבצע ספירת טסיות אחת לשבוע במשך החודש הראשון לאחר הטיפול ולאחר מכן כל שבועיים במשך החודש השני והשלישי עד שרמת הטסיות בדם חוזרת לנורמה.

5. תופעות לוואי לבביות - רמה גבוהה של טרופונין-I

טרופונין-I הינו חלבון אשר עלייה ברמתו בדם עלולה להצביע על פגיעה בלב. תיתכן עלייה ברמות בדם של חלבון זה. לכן יש לבצע מעקב אחר רמת החלבון בדם במשך לפחות שלושה חודשים לאחר הטיפול: בדיקה תתבצע אחת לשבוע בחודש הראשון שלאחר הטיפול ולאחר מכן אחת לחודש, בחודשים השני והשלישי, עד שהרמות חוזרות לנורמה.

6. טיפול בהפרשות הגוף

זולג'נסמה מתפנה מהגוף בעיקר דרך הפרשות המטופל. לכן, במשך כחודש 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.

7. TMA (Thrombotic Microangiopathy), נגעים תרומבטיים החוסמים כלי דם קטנים

זולג'נסמה עלולה להביא לירידה בספירה של טסיות הדם ותאי הדם האדומים, לגרום לפגיעה כלייתית חריפה, ולהעלות את הסיכון להופעת חבורות או דימומים, אשר עלולים להיות סימנים ל-TMA. דווחו מקרים של TMA שהתרחשו כשבוע

לאחר קבלת עירוי של זולג'נסמה. יש לפנות לקבלת טיפול רפואי מיידי אם מופיעים אצל המטופל דימומים או חבורות, פרכוסים, או ירידה במתן השתן לאחר הטיפול בזולג'נסמה.

כיצד תשתמש בתרופה?

זולג'נסמה ניתנת במנה בודדת בעירוי תוך-ורידי דרך צנתר וריד פריפריאלי. הרופא ינהל מעקב רפואי סדיר אחר הילד המטופל. למידע מלא על התרופה יש לעיין בעלון לצרכן.

תופעות לוואי

תופעות לוואי שכיחות:

- עלייה באנזימי כבד והקאות

תופעות הלוואי הבאות דווחו לאחר שהתרופה זולג'נסמה אושרה לשימוש. היות שתופעות לוואי אלה דווחו באופן וולונטרי, לא ניתן תמיד להעריך בצורה טובה את שכיחותן או לבסס קשר נסיבתי לחשיפה לתרופה:

- הפרעות של מערכת הדם והלימפה: מיקרואנגיופתיה טרומבוטית (thrombotic microangiopathy (TMA)) - נגעים טרומבוטיים החוסמים כלי דם קטנים

- אי ספיקת כבד חריפה שעשויה להוביל למצבים מסכני חיים ואף למוות, פגיעה כבדית חריפה

- חום

- עלייה ברמת חלבון טרופונין

- תרומבוציטופניה (רמה נמוכה של טסיות)

במקרה של הופעת תופעת לוואי, החמרתה, או כאשר המטופל סובל מתופעת לוואי שלא הזכרה בעלון, יש להתייעץ עם הרופא המטפל.

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 ע"י כניסה לקישור: <https://sideeffects.health.gov.il>

כמו כן, באפשרותך לדווח לבעל הרישום נוברטיס ישראל בע"מ דרך: safetydesk.israel@novartis.com

פורמט חוברת זו ותוכנה אושרו על ידי משרד הבריאות בתאריך נובמבר 2022.

שם היצרן: Novartis Gene Therapies, Inc

שם בעל הרישום: נוברטיס ישראל בע"מ, ת.ד. 7126, תוצרת הארץ 6, תל אביב.

טל: 03-9201111, פקס: 03-9229230

לשם הפשטות ולהקלת הקריאה, עלון הדרכה זה נוסח בלשון זכר.