

# Информационная брошюра для родителей

## Zolgensma - ЗОЛГЕНСМА Внутривенная инфузия

### Состав:

Onasemnogene abeparvovec

Каждый флакон содержит:  $2.0 \times 10^{13}$  vg/mL

Данная информационная брошюра содержит краткую информацию о лекарственном препарате. Если у вас возникнут дополнительные вопросы, обратитесь к врачу или фармацевту.

### Для кого предназначен препарат?

**Золгенсма предназначен для лечения детей не старше двух лет с установленным диагнозом СМА – с симптомами заболевания или без них.**

**Препарат вводится однократно путём внутривенной инфузии.**

Заболевание СМА возникает вследствие мутации гена SMN1. Мутация этого гена является причиной недостаточной выработки белка, который называется SMN. Золгенсма является препаратом генной терапии: он содержит ген, кодирующий недостающий белок. После введения препарата Золгенсма организм может вырабатывать недостающий белок в правильной форме и в достаточном количестве.

### Особые предостережения и побочные явления, связанные с применением препарата

#### 1. Тяжелое острое поражение печени, острая печеночная недостаточность или повышение уровня ферментов печени

Препарат может вызвать повышение уровня ферментов печени, тяжелое поражение печени или острую печеночную недостаточность. Тяжелая печеночная недостаточность может вызывать опасные для жизни состояния и даже приводить к смерти. По этой причине пациент начнет получать кортикостероидный препарат за день до применения Золгенсмы и продолжит его прием в течение как минимум еще 30 дней после проведения однократного лечения. Лечение кортикостероидами будет прекращено постепенно. После получения лечения препаратом Золгенсма у пациента будет выполнена серия рутинных анализов крови с целью мониторинга печеночных функций в течение не менее трёх месяцев или более длительного времени, согласно клиническим соображениям:

- один раз в неделю в течение первого месяца после лечения препаратом Золгенсма
- один раз в неделю на протяжении периода постепенного прекращения лечения кортикостероидами или с более высокой периодичностью в зависимости от клинических соображений
- если по окончании периода постепенного прекращения лечения кортикостероидами клиническое состояние пациента является стабильным, а результаты исследований нормальными, то следует продолжать мониторинг печеночных функций один раз в две недели на протяжении дополнительного месяца

В случае пожелтения кожных покровов или глазных склер, в случае пропуска дозы стероидов, а также в случае, если у пациента была рвота после их приема, или пациент испытывает снижение внимания, следует уведомить лечащего врача. Возможно, потребуются проведение дополнительных исследований в зависимости от результатов проведенных исследований, других симптомов или согласно клиническим соображениям врача.

## **2. Вакцинация перед введением препарата и после этого**

Следует проконсультироваться с лечащим персоналом относительно сроков вакцинации незадолго до или после приема стероидов.

## **3. Инфекционные заболевания**

Инфекционные заболевания (такие как простуда, грипп, воспаление бронхов - бронхолит, воспаление среднего уха, воспаление желудка и кишечника) перед лечением препаратом Золгенсма или после него может привести к серьезным осложнениям. Следует обращать внимание на возможные симптомы этих заболеваний, такие как кашель, хрипы, чихание, насморк, боль в горле или повышение температуры тела. В случае появления симптомов, указывающих на возможность инфекции, следует немедленно поставить в известность лечащего врача.

## **4. Тромбоцитопения - низкий уровень тромбоцитов**

Золгенсма может вызывать снижение уровня тромбоцитов крови, что повышает риск появления гематом или кровотечений.

В случае появления гематом («синяков») или кровотечения следует поставить в известность лечащего врача.

Следует выполнять анализ крови на тромбоциты один раз в неделю в течение первого месяца после проведения лечения, а в дальнейшем в течение второго и третьего месяцев – один раз в две недели, пока уровень тромбоцитов не нормализуется.

## **5. Побочные явления, связанные с сердцем - высокий уровень тропонина-I**

Тропонин-I – это белок, повышение уровня которого в крови может указывать на поражение сердца.

Может иметь место повышение уровня этого белка в крови. В этой связи следует наблюдать за уровнем этого белка в крови в течение не менее трех месяцев после проведения лечения: анализ будет выполняться один раз в неделю в течение первого месяца после проведения лечения, а в дальнейшем в течение второго и третьего месяцев – один раз в месяц, пока уровень белка не нормализуется.

## **6. Обработка выделений**

Золгенсма выводится из организма в основном через выделительную систему пациента.

Поэтому в течение месяца после инфузии подгузники с калом следует поместить в два целлофановых пакета перед тем, как утилизировать их с обычным бытовым мусором. Помимо этого, следует тщательно мыть руки после контакта с калом, выделениями или жидкостями организма пациента.

## **7. ТМА (тромботическая микроангиопатия) - тромботическая закупорка мелких кровеносных сосудов**

Золгенсма может вызвать снижение количества тромбоцитов и эритроцитов, острое поражение почек и увеличить риск появления гематом или кровотечений,

которые могут являться признаками ТМА. Сообщалось о случаях ТМА, которые произошли приблизительно через неделю после получения инфузии Золгенсма. Следует немедленно обратиться за медицинской помощью, если у пациента появятся кровотечения или гематомы, судороги или уменьшение объёма/частоты мочеиспусканий после проведения лечения препаратом Золгенсма.

### **Как применять препарат?**

Золгенсма вводится в организм однократно путём внутривенной инфузии через периферический венозный катетер.

Врач будет вести регулярное врачебное наблюдение за ребенком, получающим лечение.

Для получения полной информации о данном препарате следует прочитать инструкцию по применению препарата.

### **Побочные явления**

Распространенные побочные явления:

- повышение уровня ферментов печени и рвота

Об описанных ниже побочных явлениях сообщалось после того, как препарат Золгенсма был одобрен к применению. Поскольку об этих побочных явлениях сообщали произвольно, не всегда можно оценить надлежащим образом частоту их появления или обосновать причинно-следственную связь с препаратом:

- Нарушения, связанные с кровеносной и лимфатической системами: тромботическая микроангиопатия – thrombotic microangiopathy (ТМА) (тромботическая закупорка мелких кровеносных сосудов)
- Острая печеночная недостаточность, которая может вызывать опасные для жизни состояния и даже приводить к смерти, острое поражение печени
- Повышение температуры тела
- Повышение уровня белка тропонин
- Тромбоцитопения (низкий уровень тромбоцитов)

При появлении побочного явления, а также если какое-либо из побочных явлений усугубляется или если вы страдаете побочным явлением, не указанным в данной инструкции, вам следует проконсультироваться у лечащего врача.

Можно сообщить о побочных явлениях в Министерство здравоохранения, нажав на ссылку «Сообщение о побочных эффектах от лекарств», которая находится на интернет-сайте Министерства здравоохранения ([www.health.gov.il](http://www.health.gov.il)), чтобы перейти на электронный бланк сообщения о побочных явлениях, или перейдя по ссылке: <https://sideeffects.health.gov.il>

Можно также сообщить владельцу регистрации «Новартис Исраэль ЛТД» через [safetydesk.israel@novartis.com](mailto:safetydesk.israel@novartis.com)

Формат данного информационного листа и его содержание были утверждены Министерством здравоохранения в Ноябре 2022 года.

**Производитель:** Novartis Gene Therapies, Inc

**Владелец регистрационного удостоверения:** «Новартис Исраэль ЛТД», П.Я. 7126, ул. Тоцерет Ха-Арец 6, Тель-Авив.

Тел.: 03-03-9201111, факс: 03-9229230