

# نشرة إرشاد للأهل

## Zolgensma - زولجنسيما

### حقن وريدي بالتسريب

#### التركيب:

Onasemnogene abeparvovec

كل قنينة تحتوي على:  $2.0 \times 10^{13}$  vg/mL

تحتوي هذه النشرة على معلومات موجزة عن الدواء. إذا كانت لديك أسئلة أخرى، توجه إلى الطبيب أو الصيدلي.

#### لمن الدواء مخصص؟

زولجنسيما مخصص لعلاج الأطفال حتى جيل عامين، ممن تم تشخيص إصابتهم بـ SMA مع أو بدون أعراض المرض؛ يُعطى الدواء بجرعة واحدة، بالحقن لداخل الوريد.

ينتج مرض SMA عن خلل في جين يسمى SMN1. يؤدي الخلل في هذا الجين إلى إنتاج قدر غير كاف من بروتين يسمى SMN. زولجنسيما هو علاج جيني: يحتوي على الجين المشفر للبروتين الناقص. بعد إعطاء زولجنسيما، يمكن للجسم أن ينتج البروتين الناقص بكمية كافية وبشكل سليم.

### تحذيرات خاصة وأعراض جانبية تتعلق باستعمال الدواء

**1. مس حاد ووخيم بالكبد، فشل كبدي حاد أو ارتفاع في مستويات انزيمات الكبد**  
يمكن أن يسبب الدواء ارتفاعاً في مستويات أنزيمات الكبد، ضرر ووخيم للكبد أو فشل كبدي حاد. فشل كبدي حاد الذي قد يؤدي إلى حالات تشكل خطراً على الحياة والتي ممكن أن تنتهي حتى بالوفاة. لهذا السبب، سوف يتم إعطاء دواء كورتيكوستيرويدي بدءاً من يوم قبل العلاج بزولجنسيما، وطيلة 30 يوماً إضافياً على الأقل بعد إعطاء العلاج لمرة واحدة. يتم إيقاف العلاج بكورتيكوستيرويدات بصورة تدريجية. بعد تلقي العلاج بزولجنسيما، سوف يخضع متلقي العلاج لسلسلة من فحوصات الدم الروتينية لمراقبة أداء الكبد لمدة ثلاثة أشهر على الأقل ولفترات أطول وفقاً للاعتبارات الطبية السريرية:

- مرة في الأسبوع طيلة الشهر الأول بعد العلاج بزولجنسيما
- مرة في الأسبوع خلال فترة التوقف التدريجي عن الكورتيكوستيرويدات، أو بوتيرة أعلى وفقاً للاعتبارات الطبية السريرية
- إذا كانت حالة المتعالج مستقرة من الناحية السريرية ومع نتائج فحوصات سليمة عند انتهاء فترة التوقف التدريجي عن الكورتيكوستيرويدات، يجب الاستمرار في مراقبة أداء الكبد مرة كل أسبوعين طيلة شهر إضافي

يجب إبلاغ الطبيب المعالج في حالات تحول لون الجلد أو العيون إلى اللون المائل للأصفر، في حال فوت متلقي العلاج جرعة ستيرويدات أو في حال تقيأها أو إذا شعر متلقي العلاج بتراجع في اليقظة.

وفقًا لنتائج الفحوصات، أعراض أخرى أو وفقًا لاعتبارات الطبيب السريرية، المحتمل أن يطلب إجراء فحوصات إضافية.

## 2. التطعيم قبل إعطاء الدواء وبعده

يجب استشارة الطاقم الطبي بخصوص مواعيد اللقاحات القريبة من موعد إعطاء الستيروئيدات.

## 3. الأمراض العدوائية

من الممكن أن تؤدي الأمراض العدوائية (مثل: زكام، انفلونزا، التهاب الشعب الهوائية - برونخيتيس، التهاب الأذن الوسطى، التهاب المعدة والأمعاء) قبل أو بعد العلاج بزولجنسيما إلى مضاعفات وخيمة. يجب الانتباه إلى علامات ممكنة لمثل هذه الأمراض مثل السعال، خرخرة، عطس، سيلان الأنف، ألم حلق أو حمى. يجب إبلاغ الطبيب المعالج فورًا في حالات ظهور أعراض تشير إلى تلوث محتمل.

## 4. قلة الصفائح - مستوى منخفض من الصفائح

قد يسبب زولجنسيما انخفاضًا في تعداد صفائح الدم ويؤدي إلى ارتفاع في خطر ظهور كدمات أو نزيف.

يجب إبلاغ الطبيب المعالج في حالات ظهور علامات تكدم ("علامات زرقاء") أو نزيف. يجب إجراء تعداد صفائح مرة في الأسبوع طوال الشهر الأول بعد العلاج ومن ثم كل أسبوعين طوال الشهر الثاني والثالث حتى تعود مستويات الصفائح للمعتاد.

## 5. أعراض جانبية قلبية - مستوى مرتفع من تروبونين-1

تروبونين-1 هو بروتين قد يشير ارتفاع مستواه في الدم إلى المس بالقلب. يحتمل ارتفاع في مستويات هذا البروتين في الدم. لذلك يجب القيام بمتابعة لمستوى البروتين في الدم لمدة ثلاثة أشهر على الأقل بعد العلاج: سوف يتم الفحص مرة كل أسبوع في الشهر الأول بعد العلاج و ثم مرة كل شهر، في الشهر الثاني والثالث، حتى تعود المستويات للمعتاد.

## 6. معالجة إفرازات الجسم

يتم تصريف زولجنسيما من الجسم بشكل خاص عن طريق إفرازات متلقي العلاج. لذلك، طوال نحو شهر بعد الحقن الوريدي، يجب وضع الحفاضات التي تحتوي على البراز في كيسين من البلاستيك ورميهما في النفايات العادية. كذلك يجب الحرص على غسل اليدين بعد كل لمس للبراز، الإفرازات وسوائل الجسم.

## 7. TMA (Thrombotic Microangiopathy)، آفات خثرية تسد أوعية دم صغيرة

قد يؤدي زولجنسيما إلى انخفاض في تعداد صفائح الدم وخلايا الدم الحمراء، ويؤدي إلى إصابة كلوية وخيمة، ويزيد خطر ظهور كدمات أو نزيف، ما قد يكون علامة لـ TMA. تم الإبلاغ عن حالات TMA حدثت بعد نحو أسبوع من تلقي تسريب زولجنسيما. يجب التوجه للحصول على علاج طبي فوري في حال ظهرت لدى متلقي العلاج أنزفة أو كدمات، اختلاجات، أو انخفاض في إنتاج البول بعد العلاج بزولجنسيما.

## كيف تستعمل الدواء؟

زولجنسيما يعطى بجرعة واحدة بتسريب عبر الوريد (حقن وريدي) عن طريق قثطار وريدي طرفي.

سوف يقوم الطبيب بمتابعة طبية منتظمة للطفل الذي يتلقى العلاج. للحصول على معلومات كاملة عن الدواء يجب الاطلاع على نشرة المستهلك.

## أعراض جانبية

أعراض جانبية شائعة:

• ارتفاع إنزيمات الكبد والتقيؤ

تم الإبلاغ عن الأعراض الجانبية التالية بعد أن تمت المصادقة على الدواء زولجنسيما للاستعمال. حيث أن هذه الأعراض الجانبية قد بلغ عنها بشكل تطوعي، لا يمكن دومًا تقييم شيوعها بشكل جيد أو توثيق علاقة سببية مع التعرض للدواء:

• اضطرابات جهاز الدم والليمفا: اعتلال الأوعية الدقيقة الخُثاريّ (thrombotic microangiopathy (TMA)) - آفات خثرية تسد أوعية دموية صغيرة

• فشل كبدي حاد الذي قد يؤدي إلى حالات تشكل خطرًا على الحياة وحتى بالوفاة، إصابة كبدية حادة

• حمى

• ارتفاع مستوى بروتين تروپونين

• قلة الصفيحات (مستوى منخفض من الصفائح الدموية)

في حال ظهور عرض جانبي، تفاقمه، أو عندما يعاني متلقي العلاج من أعراض جانبية لم تذكر في النشرة، يجب استشارة الطبيب المعالج.

يمكن الإبلاغ عن الأعراض الجانبية لوزارة الصحة من خلال الضغط على رابط "الإبلاغ عن الأعراض الجانبية في أعقاب علاج دوائي" الموجود في الصفحة الرئيسية لموقع وزارة الصحة ([www.health.gov.il](http://www.health.gov.il)) الذي يوجه للنموذج الأتترنتي للتبليغ عن أعراض جانبية، أو من خلال دخول الرابط: <https://sideeffects.health.gov.il>

كذلك بالإمكان إبلاغ صاحب التسجيل، نوفارتيس إسرائيل م.ض. عن طريق: [safetydesk.israel@novartis.com](mailto:safetydesk.israel@novartis.com)

تمت المصادقة على صيغة ومحتوى هذه الكراسة من قبل وزارة الصحة في تاريخ تشرين الثاني 2022.

اسم المنتج: Novartis Gene Therapies, Inc

صاحب التسجيل: نوفارتيس إسرائيل م.ض.، ص.ب 7126، توتسيرت هآرتس 6، تل أبيب.

هاتف: 03-9201111، فاكس: 03-9229230

للتبسيط وتسهيل القراءة، تم صياغة هذه النشرة بصيغة المذكور.