

Om een maximaal voordeel te halen voor de gezondheid van het kind uit de effecten van het geneesmiddel Zolgensma[®], om voor een goed gebruik ervan te zorgen en om de ongewenste effecten ervan te beperken, zijn er bepaalde maatregelen / voorzorgsmaatregelen die moeten worden genomen, die in dit materiaal worden uitgelegd (RMA versie 11/2024).

ZOLGENSMA[®] **(onasemnogene** **abeparvovec)** **informatiebrochure** **voor de verzorgers**

▼ Dit geneesmiddel is onderworpen aan aanvullende monitoring.

Lees aandachtig de bijsluiter alvorens uw kind het geneesmiddel Zolgensma[®] toegediend krijgt. De volledige en geactualiseerde tekst van deze bijsluiter is beschikbaar op de website www.fagg.be, rubriek “Zoek informatie over een vergund geneesmiddel”.

Voorwoord

De arts van uw kind heeft u deze gids gegeven omdat er bij uw kind dit middel voorgeschreven is.

Deze gids is bedoeld om u praktische informatie te geven om de gesprekken met uw arts te ondersteunen.

Als u vragen heeft of zich zorgen maakt over Zolgensma[®], neem dan contact op met de arts, verpleegkundige of apotheker/andere zorgverlener van uw kind.

Wat staat er in deze gids?

Over SMA

- Wat is SMA? 4
- Wat zijn de verschillende soorten SMA? 5
- Wat veroorzaakt SMA? 6
- Hoe krijg je SMA? 7

Wat is Zolgensma[®]?

- Wat is Zolgensma[®]? 8
- Zolgensma[®] bij gevorderde SMA 9

De risico's van Zolgensma[®] begrijpen

Belangrijke informatie over de veiligheid en de mogelijke bijwerkingen van Zolgensma[®].

10

Behandeling met Zolgensma[®]

- Vóór de behandeling 16
- Dag van de behandeling 18
- Na de behandeling 20

Wanneer u een arts moet raadplegen

23

Contactgegevens van de arts

24

Lokale patiëntenverenigingen

25

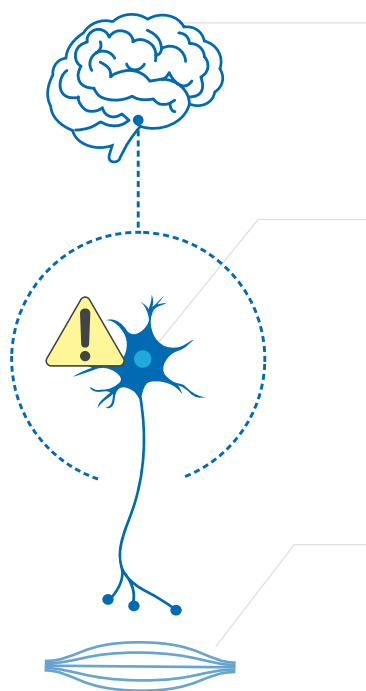
Verklaring van vaak voorkomende woorden

26

Hier vindt u nuttige definities van termen die in deze brochure gebruikt worden.

Wat is SMA?

Spinale spieratrofie (SMA) is een zeldzame genetische ziekte waarbij zenuwen verloren gaan en de spieren zwak worden. Dit gebeurt doordat speciale zenuwcellen in het lichaam die spierbewegingen aansturen, motorneuronen genaamd, achteruitgaan en niet meer werken.



Signalen komen van de hersenen

Bij mensen met SMA worden de signalen die de spieren aanzetten tot beweging nog steeds uitgezonden vanuit de hersenen.

Motorneuronen stoppen met werken

Een defect gen zorgt er echter voor dat speciale zenuwcellen, motorneuronen genaamd, die signalen van het ruggenmerg naar de spieren sturen, niet meer werken. Dit betekent dat de signalen die voor beweging instaan vanuit de hersenen de spieren niet kunnen bereiken.

Verzwakte spieren

Als de spieren geen signalen meer ontvangen om te bewegen, worden ze steeds zwakker (geatrofieerd).

Wat zijn de symptomen van SMA?

SMA heeft een reeks symptomen die van persoon tot persoon en in ernst kunnen verschillen. SMA kan invloed hebben op dagelijkse activiteiten, zoals ademen, eten, zitten, kruipen en lopen. Hoe vroeger de symptomen van SMA optreden, hoe ernstiger de ziekte waarschijnlijk is.

Wat zijn de verschillende soorten SMA?

Bij de diagnose kunnen mensen met SMA worden ingedeeld in types op basis van hun leeftijd bij aanvang ervan en maximale functionele vermogen, of 'motorische mijlpaal'. Motorische mijlpalen die relevant zijn om te begrijpen welk type SMA kinderen kunnen hebben, zijn onder meer hun vermogen om:



Het hoofd op te tillen



Iets te grijpen met de handen



Te kruipen



Te zitten



Van de rug op de buik te rollen



Recht op te staan en te stappen

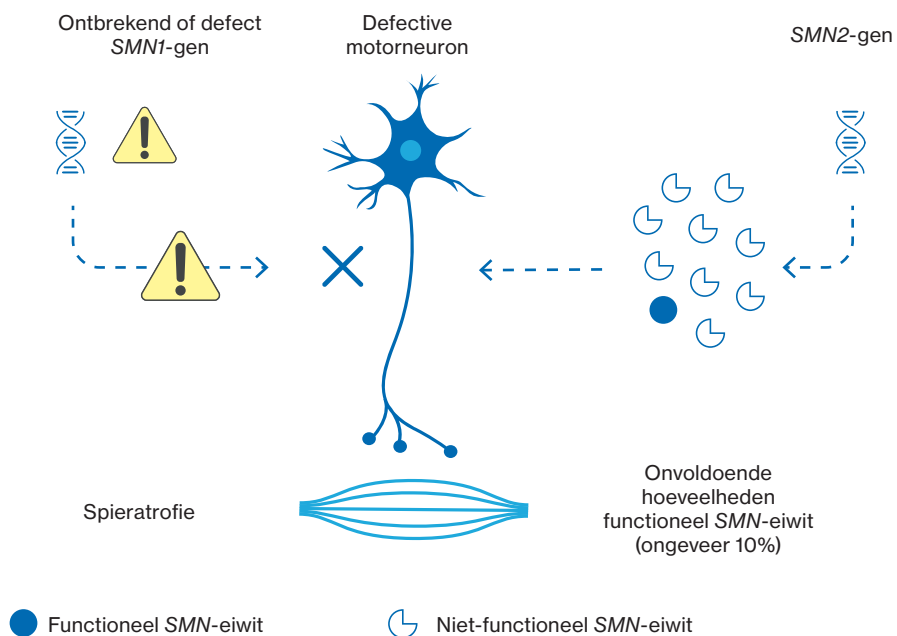
| Leeftijd bij aanvang | Geboorte | ≤6 maanden | 6-18 maanden | >18 maanden | ≥18 jaren |
|----------------------|----------------------------------------------|---------------------------------------|------------------------------------------------------------------------|------------------------|--------------------------------------|
| Functioneel vermogen | Foetus kan getroffen worden vóór de geboorte | Niet in staat onafhankelijk te zitten | In staat te zitten, kan staan, niet in staat onafhankelijk te wandelen | Onafhankelijk wandelen | Zelfstandig opgroeien tot volwassene |
| Klassificatie | SMA Type 0 | SMA Type 1 | SMA Type 2 | SMA Type 3 | SMA Type 4 |
| Ernst | ← Vroeger, ernstiger | | → Later, minder ernstig | | |

Zonder interventie of behandeling hebben kinderen met ernstigere vormen van SMA een verkorte levensduur. Met een vroege medische interventie en behandeling kan de achteruitgang vertraagd worden, en kunnen kinderen mijlpalen bereiken die zelden gezien worden tijdens het natuurlijke ziekteverloop.

Wat veroorzaakt SMA?

Een eiwit met de naam *SMN*-eiwit (Survival Motor Neuron) is essentieel voor motorneuronen om goed te kunnen werken. Zonder *SMN*-eiwit stoppen de motorneuronen in het ruggenmerg met werken en worden de spieren zwakker. *SMN*-eiwit wordt in het lichaam gemaakt uit *SMN*-genen.

Bij SMA is het belangrijkste *SMN*-gen, bekend als *SMN1*, defect of ontbreekt het. Er is een tweede *SMN*-gen bekend als *SMN2* dat meer werkt als een 'back-up' en slechts kleine hoeveelheden *SMN*-eiwit produceert. Bij SMA wordt er niet genoeg *SMN*-eiwit aangemaakt en stoppen de motorneuronen met werken waardoor de spieren zwakker worden.

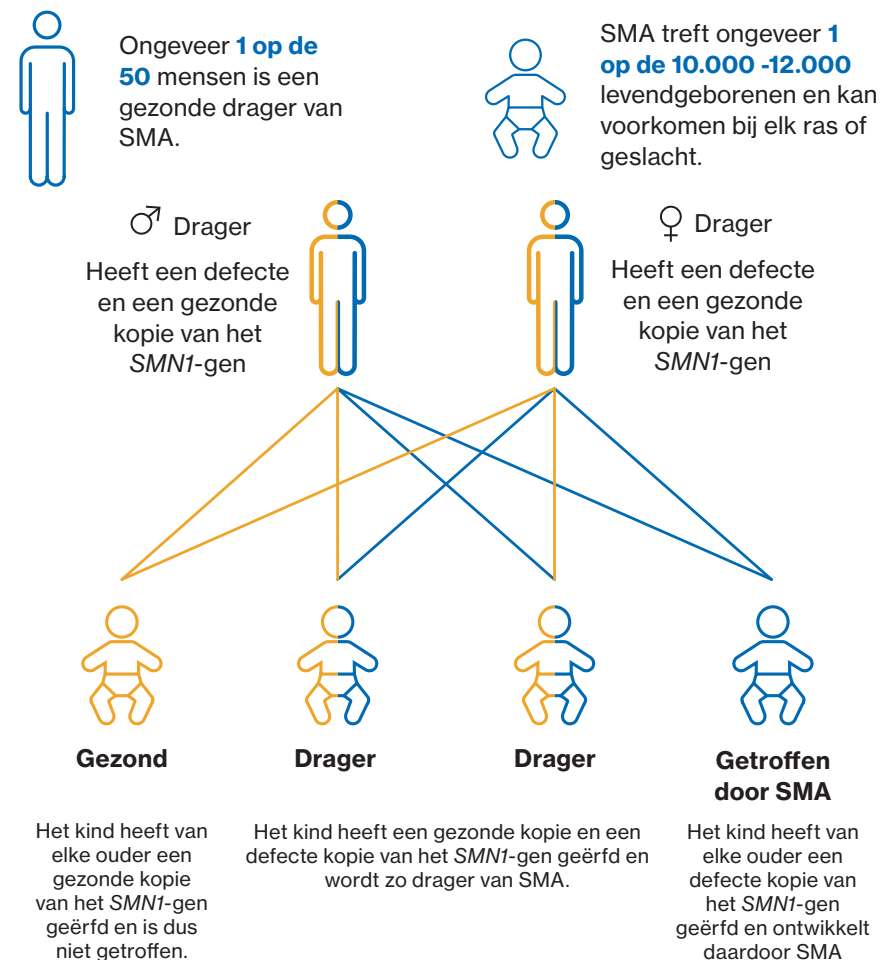


Hoe krijg je SMA?

SMA is meestal erfelijk, maar soms wordt het veroorzaakt door een willekeurige fout in het *SMN1*-gen.

Kinderen erven twee kopieën van het *SMN1*-gen, één kopie van elke ouder. De helft van de genetische informatie van een kind komt van de moeder en de andere helft van de vader.

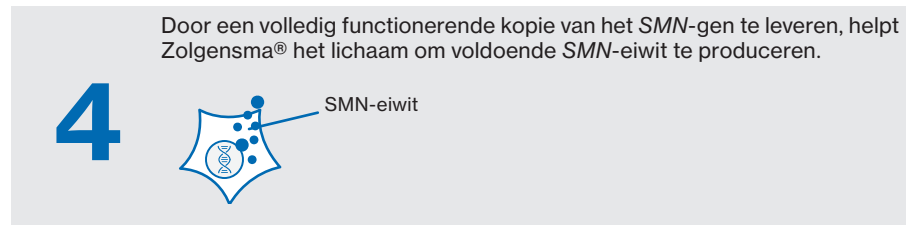
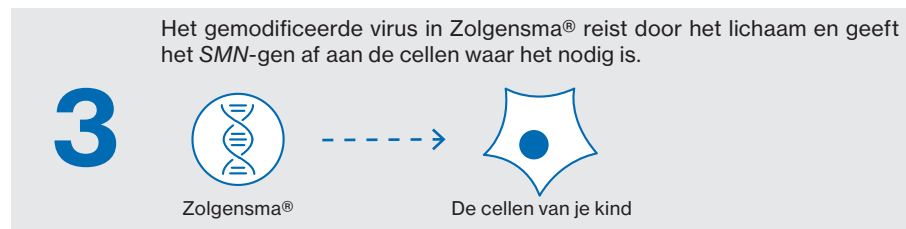
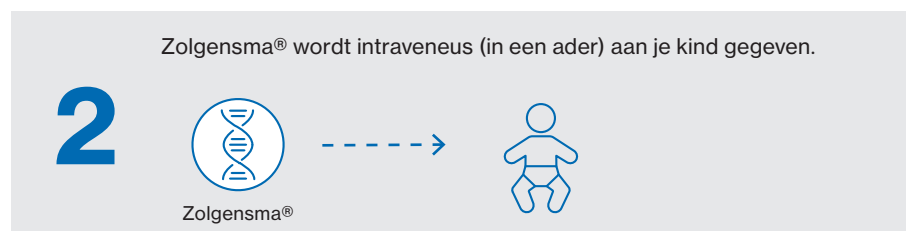
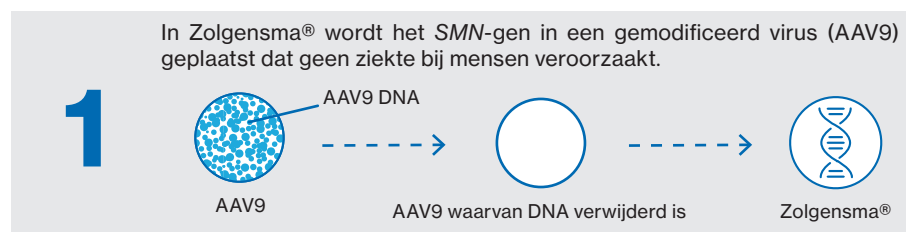
Mensen met één gezond en één defect *SMN1*-gen staan bekend als dragers en vertonen normaal gesproken geen tekenen van SMA. Als beide ouders drager zijn, is er 25% kans dat de baby SMA erft en ontwikkelt.



Wat is Zolgensma®?

Zolgensma® is een behandeling voor baby's en jonge kinderen met SMA. Zolgensma® is een soort behandeling die 'gentherapie' wordt genoemd.

Zolgensma® bestaat uit een gemodificeerd virus, AAV9, dat een volledig functionerende kopie bevat van het SMN-gen (het gen dat defect is bij SMA). Het AAV9-virus in Zolgensma® wordt gebruikt om het vervangende gen naar het lichaam en de cellen te brengen waar dit nodig is.



Zolgensma® bij gevorderde SMA

Zolgensma® kan motorische neuronen redden die nog leven en in staat zijn om te groeien, maar kan geen afgestorven motorische neuronen redden. Kinderen met minder ernstige symptomen van SMA kunnen voldoende levende motorische neuronen hebben om baat te hebben bij een behandeling met Zolgensma®. Mogelijk werkt Zolgensma® niet even goed bij kinderen met ernstige symptomen.

De risico's van Zolgensma® begrijpen

Zoals elk geneesmiddel kan ook dit geneesmiddel bijwerkingen hebben, al krijgt niet iedereen daarmee te maken.

KRIJGT UW KIND LAST VAN BIJWERKINGEN, NEM DAN ONMIDDELIJK CONTACT OP MET DE ARTS, VERPLEEGKUNDIGE OF APOTHEKER/ ANDERE ZORGVERLENER VAN UW KIND.



Belangrijke informatie over de veiligheid en over wanneer u een arts moet raadplegen.



Leverproblemen

Als uw kind problemen met de lever heeft of gehad heeft, licht dan het medisch team van uw kind in voordat het dit geneesmiddel toegediend krijgt.

In sommige gevallen kan Zolgensma® een immuunrespons veroorzaken die mogelijk leidt tot een verhoging van enzymen (bepaalde eiwitten in het lichaam) die door de lever worden aangemaakt, of tot leverbeschadiging.

Schade aan de lever kan ernstige gevolgen hebben, waaronder leverfalen en overlijden. Mogelijke klachten waar u waakzaam dient voor te zijn nadat uw kind dit geneesmiddel heeft gekregen omvatten braken, geelzucht (geel worden van de huid of het wit van de ogen), of verminderde alertheid. Vertel het onmiddellijk aan de arts van uw kind als u merkt dat uw kind symptomen ontwikkelt die wijzen op schade aan de lever.



Abnormale bloedstolling

Zolgensma® kan het risico op een abnormale bloedstolling in de kleine bloedvaten verhogen (trombotische microangiopathie). Gevallen traden over het algemeen op binnen twee weken na de infusie met Zolgensma®. Deze bloedstolsels kunnen de nieren van uw kind aantasten. Trombotische microangiopathie is ernstig en kan de dood tot gevolg hebben. Vertel het uw arts onmiddellijk als u klachten of verschijnselen opmerkt zoals blauwe plekken, epileptische aanvallen (stuipen) of een afname van de urineproductie. Let heel goed op deze klachten en verschijnselen, want abnormale bloedstolling (trombotische microangiopathie) is ernstig en kan levensbedreigend zijn als het niet wordt behandeld.



Laag aantal bloedplaatjes

Zolgensma® kan het aantal bloedplaatjes verlagen (trombocytopenie). De gevallen deden zich meestal voor binnen de eerste 3 weken na de infusie met Zolgensma®.

Mogelijke klachten van een laag aantal bloedplaatjes waar u op moet letten nadat uw kind Zolgensma® heeft gekregen, zijn abnormale blauwe plekken of bloedingen. Spreek met uw arts als u klachten ziet zoals blauwe plekken of langer dan normaal bloeden als uw kind zich verwond heeft.



Verhoogde troponine-I

Zolgensma® kan de concentratie verhogen van een eiwit dat specifiek is voor het hart, 'troponine-I' genaamd. Dit kan wijzen op een hartletsel. U moet letten op mogelijke tekenen van hartproblemen nadat uw kind Zolgensma® heeft gekregen, zoals een bleke, grijze verkleuring van de huid, ademhalingsproblemen (bijv. snelle ademhaling, kortademigheid), zwelling van de armen en benen of van de buik.

Er zullen bij uw kind bloedonderzoeken uitgevoerd worden om de leverfunctie, de nierfunctie, het aantal bloedcellen (waaronder het aantal rode bloedcellen en bloedplaatjes) en het troponine-I-gehalte te controleren vóór de behandeling met Zolgensma® toegediend wordt. Gedurende minstens 3 maanden na de behandeling zullen regelmatig bloedonderzoeken bij uw kind worden uitgevoerd om de leverfunctie te controleren en eventuele veranderingen in het aantal bloedplaatjes en het troponine-I-gehalte op te sporen. Afhankelijk van de waarden en andere klachten en symptomen kan verder onderzoek nodig zijn. De arts van uw kind zal beslissen hoe lang de test uitgevoerd moeten worden.



Raadpleeg de bijsluiter die bij het geneesmiddel van uw kind zit voor meer informatie over Zolgensma®. Aarzel niet om contact op te nemen met het medisch team van uw kind indien u vragen heeft.

De risico's van Zolgensma® begrijpen (vervolg)



Allergieën

Uw kind mag Zolgensma® niet krijgen als het allergisch is voor een van de bestanddelen (de bestanddelen worden opgesomd in rubriek 6 van de bijsluiter die bij het geneesmiddel van uw kind zit).



Corticosteroïden

Vóór en na de behandeling met Zolgensma® zal uw kind gedurende een bepaalde periode ook corticosteroïden (prednisolon of een vergelijkbaar middel) toegediend krijgen. De duur van de toediening van corticosteroïden aan uw kind na de behandeling met Zolgensma® is afhankelijk van de leverenzymwaarden en andere klachten en symptomen, en wordt bepaald door de arts van uw kind. Deze periode zal minimaal 2 maanden zijn.

De corticosteroïden zullen helpen om de eventuele stijging van de leverenzymen te beheersen die uw kind zou kunnen ontwikkelen door een immunreactie op Zolgensma®. De dosis van het corticosteroïd dat uw kind zal krijgen, zal door de arts van uw kind bepaald worden aan de hand van het lichaamsgewicht van uw kind.

Tijdens de dosering van de corticosteroïden kan uw kind te maken krijgen met nieuwe infecties of andere gebruikelijke kinderziekten waarvoor mogelijks andere geneesmiddelen moeten gebruikt worden. Voorafgaand aan de behandeling met andere geneesmiddelen, of indien u vragen heeft over corticosteroïden, is het belangrijk om contact op te nemen met de arts, verpleegkundige of apotheker/andere zorgverlener van uw kind.



Infectie

Uw kind kan een verzwakt immuunsysteem hebben als gevolg van de toediening van de corticosteroïden, wat betekent dat infecties die gezonde mensen kunnen bestrijden, uw kind ernstig ziek kunnen maken. Als uw kind **vóór** of **na** de behandeling met Zolgensma® een infectie ontwikkelt (bijv. verkoudheid, griep of bronchiolitis), kan dit leiden tot andere ernstige complicaties die dringende medische hulp kunnen vereisen.

Vertel het onmiddellijk aan de arts van uw kind als u merkt dat uw kind een van de volgende verschijnselen krijgt:

- Hoest
- Piepen
- Niezen
- Lopende neus
- Keelpijn
- Koorts

Vóór en na de behandeling met Zolgensma® is het belangrijk infecties te voorkomen door situaties te vermijden die het risico op het krijgen van infecties kunnen vergroten. U en nauwe contacten van uw kind kunnen helpen bij de preventie van infecties door een goede handhygiëne, goede etiquette wat betreft hoesten/niezen en beperking van mogelijke contacten.



Gebruikt uw kind naast Zolgensma® nog andere geneesmiddelen?

Gebruikt uw kind naast Zolgensma® nog andere geneesmiddelen, heeft hij/zij dat kort geleden gedaan of bestaat de mogelijkheid dat uw kind binnenkort andere geneesmiddelen gaat gebruiken? Vertel dat aan de arts of verpleegkundige van uw kind.

Behandeling met Zolgensma®

De stappen op de volgende pagina's zullen u en uw gezin helpen te begrijpen wat u kunt verwachten

- 1** Vóór de behandeling
- 2** Dag van de behandeling
- 3** Na de behandeling

1. Vóór de behandeling

Om te helpen beslissen of Zolgensma® geschikt is voor uw kind, zal de arts van uw kind vóór de behandeling tests op antilichamen uitvoeren.



Test voor antilichamen tegen AAV9

Antilichamen worden aangemaakt door het immuunsysteem van het lichaam om het te helpen beschermen tegen ziekte. De aanwezigheid van bepaalde antilichamen, AAV9-antilichamen genoemd, kunnen ervoor zorgen dat uw kind een immunoreactie vertoont op Zolgensma®. Om uit te maken of Zolgensma® geschikt is voor uw kind, zal de arts van uw kind vóór de behandeling tests uitvoeren om antilichamen op te sporen.

Het is mogelijk dat de hoeveelheid AAV9-antilichamen bij uw kind verhoogd is. Indien de baby pas geboren is, kan het gaan om antilichamen die tijdens de zwangerschap van de moeder naar de baby zijn overgedragen. Na de geboorte nemen die verhogingen vaak geleidelijk af. Als uw kind na zijn eerste test een verhoogd aantal AAV9-antilichamen heeft, komt het na een bepaalde tijd in aanmerking voor een nieuwe test. Als u vragen hebt, stel die dan aan de arts van uw kind.



Bloedonderzoeken

Voordat de behandeling met Zolgensma® wordt gestart, wordt er een bloedonderzoek bij uw kind uitgevoerd om de beginwaarden te bepalen voor:

- de leverfunctie
- de nierfunctie
- het aantal bloedcellen, (waaronder de rode bloedcellen en de bloedplaatjes)
- het troponine-I-gehalte

Die metingen zullen de arts helpen om de waarden van uw kind na de behandeling met Zolgensma® te controleren.



Corticosteroïden

24 uur voordat het met Zolgensma® behandeld wordt, zal uw kind corticosteroïden (prednisolon of een vergelijkbaar middel) krijgen om mogelijke stijgingen van leverenzymen onder controle te houden.

De dosis van het corticosteroïd die uw kind zal krijgen, zal door de arts van uw kind bepaald worden aan de hand van het lichaamsgewicht van uw kind. Om er zeker van te zijn dat uw kind zijn/haar dosis van het corticosteroïd niet gemist heeft, moet u de arts, verpleegkundige of apotheker/andere zorgverlener van uw kind inlichten als uw kind gebraakt heeft vóór de behandeling met Zolgensma®.



Infectie

Vóór of **na** de behandeling met Zolgensma® is het belangrijk dat u meteen de arts, verpleegkundige of apotheker/andere zorgverlener van uw kind inlicht indien uw kind symptomen ontwikkelt die wijzen op een infectie. Als uw kind vóór de behandeling met Zolgensma® tekenen en symptomen ontwikkelt die wijzen op een infectie, kan het nodig zijn om het infuus uit te stellen tot de infectie verdwenen is. Als uw kind na de behandeling met Zolgensma® symptomen ontwikkelt, kan dat tot medische complicaties leiden die dringende medische hulp kunnen vereisen.

Zie pagina 13 voor tekenen van een mogelijke infectie.



Algemene gezondheidstoestand

Vóór de behandeling met Zolgensma®, is het belangrijk dat de algemene gezondheid van uw kind adequaat is (bijv. hydratatie en voedingstoestand, afwezigheid van infectie), anders moet de behandeling mogelijk worden uitgesteld. Indien u zich zorgen maakt over de algemene gezondheidstoestand van uw kind vóór de behandeling met Zolgensma®, neem dan contact op met de arts, verpleegkundige of apotheker/andere zorgverlener van uw kind.

2. Dag van de behandeling

Het medisch team van uw kind zal erop toezien dat u precies weet wat u mag verwachten op de dag van de behandeling en hoe u zich daarop kunt voorbereiden.



Prednisolon

De eerste dosis corticosteroiden (prednisolon of een vergelijkbaar middel) zal 24 uur voor de behandeling met Zolgensma® toegediend worden aan uw kind. Zie pagina 17 voor meer informatie over de toediening van het corticosteroid vóór de behandeling met Zolgensma®.

Op de dag van de behandeling zal uw kind via de mond zijn tweede dosis van het corticosteroid (prednisolon of een vergelijkbaar middel) krijgen, zoals voorgeschreven.

Het doseringsschema voor corticosteroiden is belangrijk om eventuele stijgingen van de leverenzymen onder controle te houden en zal gedurende een bepaalde periode na de behandeling worden voortgezet. Zie pagina 20 voor informatie over het doseren van corticosteroiden na behandeling met Zolgensma®. Om er zeker van te zijn dat uw kind zijn/haar dosis van het corticosteroid niet gemist heeft, moet u de arts, verpleegkundige of apotheker/andere zorgverlener van uw kind inlichten als uw kind gebraakt heeft na de inname van de dosis corticosteroiden.



Zolgensma® infusie

Zolgensma® zal aan uw kind worden toegediend als een eenmalig intraveneus infuus. Daarbij wordt er een katheter (plastic buisje) in een van de aders van uw kind geplaatst, met behulp van een naald. Er zal ook een tweede katheter geplaatst worden als reserve, voor het geval de eerste katheter verstopt raakt. Het infuus zal worden toegediend door een arts of verpleegkundige die ervaren is in het behandelen van SMA. Het infuus zal ongeveer 60 minuten duren.

De hoeveelheid van Zolgensma® die uw kind zal krijgen, zal door de arts van uw kind bepaald worden aan de hand van het lichaamsgewicht van uw kind.



Zolgensma® wordt slechts ÉÉN KEER aan uw kind gegeven.

3. Na de behandeling

De arts van uw kind zal beslissen hoe lang uw kind in het ziekenhuis moet blijven na de behandeling met Zolgensma®. Als u vragen heeft, stel die dan aan het medisch team van uw kind.



Toediening van corticosteroiden na Zolgensma®



Uw kind zal dagelijks een corticosteroidbehandeling toegediend krijgen gedurende ongeveer 2 maanden na toediening van Zolgensma®. Die periode kan verlengd worden als de leverenzymen van uw kind niet snel genoeg dalen, tot ze een aanvaardbaar niveau bereiken. De dosis corticosteroid die uw kind toegediend krijgt, zal in die periode geleidelijk verlaagd worden totdat de behandeling volledig kan worden stopgezet.

Het medisch team van uw kind zal beslissen en uitleggen wanneer en hoe zij deze behandeling voor uw kind zullen stoppen. Om er zeker van te zijn dat uw kind geen dosis corticosteroid mist, vertel het de arts, verpleegkundige of apotheker/andere zorgverlener van uw kind in het geval van braken of gemiste doses (**om welke reden dan ook**) na de behandeling met Zolgensma®. Stop de behandeling met corticosteroiden niet voordat u dit heeft besproken met de arts, verpleegkundige of apotheker/andere zorgverlener van uw kind.

Als u vragen heeft over corticosteroiden, praat dan met de arts, verpleegkundige of apotheker/andere zorgverlener van uw kind.

Regelmatige opvolging



Na de behandeling met Zolgensma® blijft uw kind onder regelmatig toezicht van een toegewijd zorgteam. Uw kind zal zo nodig opvolgingsbezoeken krijgen, of dit nu voor algemene controles is, als uw kind last heeft van bijwerkingen of als u zich zorgen maakt of vragen heeft.

Aangepaste standaardzorg voor patiënten met SMA, inclusief ondersteunende zorg, is noodzakelijk en zal worden verstrekt. Het is belangrijk om met de arts van uw kind te bespreken hoe het zorgteam uw kind kan blijven ondersteunen.



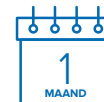
Regelmatige bloedonderzoeken

Na de behandeling met Zolgensma® zal uw kind regelmatig een bloedtest ondergaan ter controle van:

- de leverfunctie – die onderzoeken kunnen tot minstens 3 maanden na de behandeling worden uitgevoerd om verhogingen van leverenzymen te monitoren. Indien de leverfunctie van uw kind verslechtert na behandeling met Zolgensma®, of als ze tekenen van ziekte vertonen, wordt het onmiddellijk beoordeeld en nauwlettend in de gaten gehouden door hun arts.
- het aantal bloedplaatjes en het troponine-I-gehalte – die zullen gedurende een bepaalde periode worden uitgevoerd om veranderingen in het aantal bloedplaatjes en het troponine-I-gehalte te monitoren.

Afhankelijk van de resultaten van dit bloedonderzoek en van andere tekenen en symptomen, kan verder onderzoek nodig zijn. Het is belangrijk dat u het schema voor bloedonderzoek nauwgezet volgt en dat u alle tekenen en symptomen die uw kind na de behandeling ontwikkelt, onmiddellijk meldt aan het medisch team van uw kind.

Hygiënische zorg



Een deel van de werkzame stof in Zolgensma® kan na de behandeling tijdelijk worden uitgescheiden via de lichamelijke afvalproducten van uw kind. U en andere mensen die uw kind verzorgen, moeten gedurende **ten minste 1 maand** nadat uw kind Zolgensma® heeft gekregen een goede handhygiëne in acht nemen, zoals hieronder beschreven.



Draag beschermende handschoenen als u direct in contact komt met lichaamsvocht (urine) of lichaamsafval (stoelgang) van uw kind.



Was achteraf uw handen zorgvuldig met zeep en warm stromend water, of een handreiniger op basis van alcohol.



Gebruik dubbele plastic zakken om vuile luiers en ander afval te verwijderen. Wegwerpluiers kunnen wel nog met het huishoudelijk afval worden verwijderd.

Heeft u vragen over hoe u met het lichaamsafval van uw kind moet omgaan? Neem dan contact op met de arts, verpleegkundige of apotheker/andere zorgverlener van uw kind.

3. Na de behandeling (vervolg)

Ondersteunende zorg

Hoewel Zolgensma® een volledig werkende kopie van het SMN-gen aflevert, heeft uw kind nog altijd SMA.

Aanvullende ondersteunende behandelingen die gebruikt worden om mensen met SMA te verzorgen zijn onder meer:



Orthopedische behandelingen



Fysiotherapie



Ondersteuning bij de voeding, eten en drinken



Ademhalingsondersteuning, bijv. met een slaapmasker



Preventie van luchtweginfecties (bijv. preventie van griep en longontsteking via vaccinaties)



Verwijdering van slijm uit de luchtwegen

Het zorgteam van uw kind zal er samen met u op toezien dat uw kind de nodige ondersteunende zorg krijgt.



Wanneer u een arts moet raadplegen

ZOEK DRINGEND MEDISCHE HULP ALS UW KIND EEN VAN DE VOLGENDE ERNSTIGE TEKENEN OF SYMPTOMEN ONTWIKKELT:



- **Blaue plekken of bloedingen** die langer dan normaal duren wanneer uw kind zich heeft bezeerd – dit kunnen tekenen van een laag aantal bloedplaatjes (trombocytopenie) zijn.
- **Makkelijk blauwe plekken krijgen, aanvallen (stuipen) of een afname van de urineproductie** – dat kunnen tekenen zijn van een abnormale bloedstolling in de kleine bloedvaten (trombotische microangiopathie). Er moet zeer goed op deze tekenen en symptomen worden gelet, want een abnormale bloedstolling kan levensbedreigend zijn indien niet behandeld.
- **Braken, geelzucht** (geel worden van de huid of het wit van de ogen), of **verminderde alertheid** – dat kunnen tekenen van mogelijke leverproblemen zijn (waaronder leverfalen).
- **Bleekgrijze of blauwe verkleuring van de huid, ademhalingsproblemen** (bijv. snelle ademhaling, kortademigheid), **zwellen van de armen en benen of van de buik** – dat kunnen tekenen van mogelijke hartproblemen zijn.
- **Hoesten, piepende ademhaling, niezen, lopende neus, keelpijn of koorts** – dat kunnen tekenen van een infectie zijn (bijv. verkoudheid, griep of bronchiolitis).

Contactgegevens van de arts

Uw kind zal na het Zolgensma®-infuus verder gecontroleerd worden door een team van zorgverleners. Indien u zich zorgen maakt en met de arts of het zorgteam van uw kind wilt spreken, kunt u het onderstaande formulier gebruiken om hun contactgegevens te noteren.

| | |
|----------------|--|
| Naam | |
| Functie | |
| Telefoonnummer | |
| E-mail | |
| <hr/> | |
| Naam | |
| Functie | |
| Telefoonnummer | |
| E-mail | |
| <hr/> | |
| Naam | |
| Functie | |
| Telefoonnummer | |
| E-mail | |
| <hr/> | |
| Naam | |
| Functie | |
| Telefoonnummer | |
| E-mail | |

Lokale patiëntenverenigingen

Er zijn wereldwijd talrijke patiëntenverenigingen die u en uw kind met SMA kunnen helpen. Zij kunnen informatie verstrekken over SMA, het recent onderzoek en gemeenschapondersteuning. Spreek met de arts of het zorgteam van uw kind voor informatie over groepen in jouw buurt.

Verklaring van vaak voorkomende woorden

Adenogeassocieerd virus 9 (AAV9)

Adenogeassocieerd virus 9 (AAV9) is een type virus. AAV9 kan gewijzigd worden, zodat het geen ziekte veroorzaakt bij de mens. In Zolgensma® is gewijzigd AAV9 de vector die gebruikt wordt om de volledig werkende kopie van het SMN-gen af te leveren.

Antilichamen

Antilichamen worden aangemaakt door het immuunsysteem van het lichaam om het te helpen beschermen tegen ziekte. Elk type antilichaam is uniek en beschermt het lichaam tegen een specifiek type ziekte.

Atrofie

Atrofie betekent weggewijnen of verschrompelen. Een spier die weggewijnt, noemen we een geatrofieerde spier.

Bijwerking

Een bijwerking is een bijkomend, meestal ongewenst effect van een geneesmiddel.

Bloedplaatjes

Is een type van cel in het bloed dat voor de bloedstolling zorgt.

Corticosteroiden

Corticosteroiden zijn een type geneesmiddelen die het immuunsysteem onderdrukken om mogelijke verhogingen van leverenzymen onder controle te helpen houden die na de toediening van Zolgensma® kunnen ontstaan.

Desoxyribonucleïnezuur (DNA)

DNA, of desoxyribonucleïnezuur, is het erfelijke materiaal van de mens en bijna alle andere organismen. Bijna elke cel in het lichaam bevat hetzelfde DNA.

Eiwitten

Eiwitten zijn belangrijke bouwstoffen die een rol spelen bij bijna elke functie van het lichaam. Eiwitten helpen om de lichaamscellen op te bouwen en helpen de cellen om belangrijke stoffen te vervoeren en aan te maken, zichzelf te herstellen en te overleven.

Genen

Genen zijn een reeks van instructies die het lichaam vertellen hoe het eiwitten moet maken. Genen komen voor in paren: je erft van elke ouder één exemplaar.

Gentherapie

Gentherapie is een manier om een aandoening te behandelen of de evolutie ervan te voorkomen met behulp van genen. Er bestaan verschillende types van gentherapie, die op een verschillende manier werken. Mogelijke werkingsmechanismen zijn vervanging of herstelling van ontbrekende of defecte genen; toevoeging van een nieuw gen om de werking van een ander geneesmiddel te verbeteren; of ervoor te zorgen dat een gen dat te veel van een eiwit aanmaakt (dat dan toxisch wordt voor het lichaam), geen instructies meer kan geven.

Genetische ziekte

Een medische aandoening die veroorzaakt wordt door een of meer defecte of

ontbrekende genen. Genetische ziekten zijn erfelijk. SMA is een voorbeeld van een genetische ziekte.

Hersenstam

De hersenstam is het deel van de hersenen dat cruciale functies van het lichaam ondersteunt, zoals de ademhaling en de slaap. De hersenstam verbindt het ruggenmerg met de rest van de hersenen.

Intraveneus infuus

Een infuus in een ader met behulp van een katheter (plastic buisje), die met behulp van een naald in een ader gestoken wordt.

Motorisch neuron

Deze speciale zenuwen sturen signalen van de hersenen naar de spieren om de bewegingen te regelen.

Er bestaan twee types van motorische neuronen: de hogere motorische neuronen, die de signalen van de hersenen naar de hersenstam en het ruggenmerg sturen, en de lagere motorische neuronen, die de signalen van de hogere motorische neuronen naar de spieren sturen.

Prednisolon

Prednisolon is een soort geneesmiddel dat een 'corticosteroid' wordt genoemd en dat mogelijke verhogingen van leverenzymen die na de toediening van Zolgensma® kunnen ontstaan, onder controle helpt te houden.

Spinale spieratrofie (SMA)

Spinale spieratrofie (SMA) is een zeldzame ziekte waarbij de spieren geleidelijk verzwakken omdat de specifieke zenuwcellen in het lichaam die de spierbewegingen controleren, de zogenaamde motorische neuronen, niet meer werken. De motorische neuronen takelen af en werken niet meer omdat ze niet genoeg SMN-eiwit hebben.

SMN1-gen

Het SMN1-gen is het belangrijkste SMN-gen. Het maakt het SMN-eiwit aan, dat de motorische neuronen nodig hebben om goed te werken. Bij mensen met SMA zijn beide exemplaren van dat gen gewijzigd of ontbreken ze. Dat betekent dat de cellen van het lichaam niet in staat zijn om genoeg SMN-eiwit aan te maken.

SMN2-gen

Het SMN2-eiwit werkt als 'reserve' om de aanmaak van SMN-eiwit te ondersteunen. SMN2 maakt slechts een kleine hoeveelheid functioneel SMN-eiwit aan.

Survival motor neuron-eiwit (SMN)

Het SMN-eiwit is van vitaal belang voor de goede werking en de overleving van de motorische neuronen. Zonder voldoende SMN-eiwit takelen de motorische neuronen af en werken ze niet meer. Het SMN-eiwit wordt door het lichaam aangemaakt op basis van het SMN-gen.

Melden van bijwerkingen

Krijgt uw kind last van bijwerkingen, neem dan contact op met de arts of verpleegkundige van uw kind. Dit geldt ook voor mogelijke bijwerkingen die niet in de bijsluiter staan. U kunt bijwerkingen ook rechtstreeks melden (zie details hieronder). Door bijwerkingen te melden, kunt u ons helpen meer informatie te verkrijgen over de veiligheid van dit geneesmiddel.

Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en
Gezondheidsproducten (FAGG)

www.fagg.be

Afdeling vigilantie:

Website: www.eenbijwerkingmelden.be

e-mail: adr@fagg-afmps.be

Deze brochure is opgesteld door Novartis Pharma N.V.. De gegeven informatie is alleen bestemd voor educatieve doeleinden en is niet bestemd om gesprekken met uw arts of zorgteam te vervangen. De informatie betreft spinale spieratrofie en is bedoeld als algemeen overzicht.

FA-11297258 | Datum: november 2024

© 2024 Novartis Pharma N.V. Alle rechten voorbehouden.