

Um die Wirkungen des Arzneimittels Zolgensma® für die Gesundheit des Kindes optimal nutzen zu können, seine ordnungsgemäße Anwendung sicherzustellen und seine Nebenwirkungen zu begrenzen, sind bestimmte Maßnahmen/Sicherheitsvorkehrungen zu treffen, die in dieser Broschüre beschrieben und erläutert werden (RMA Version 11/2024).

ZOLGENSMA® (onasemnogene abeparvovec) Leitfaden für Betreuungspersonen

▼ Dieses Arzneimittel unterliegt einer zusätzlichen Überwachung.

Lesen Sie die Packungsbeilage sorgfältig durch, bevor Sie das Kind das Arzneimittel Zolgensma® erhält. Der vollständige und aktualisierte Text dieser Packungsbeilage ist auf der Website www.fagg.be, Rubrik "Zoek informatie over een vergund geneesmiddel" verfügbar.

Vorwort

Der Arzt Ihres Kindes hat Ihnen diese Broschüre gegeben, da Ihrem Kind Zolgensma® verordnet wurde.

Dieser Leitfaden enthält hilfreiche Informationen, um Sie beim Gespräch mit Ihrem Arzt zu unterstützen.

Wenn Sie Fragen oder Bedenken zu Zolgensma® haben, wenden Sie sich an den Arzt, das Pflegepersonal oder den Apotheker Ihres Kindes/anderen Gesundheitsdienstleister

Inhaltsverzeichnis

Über Spinale Muskelatrophie (SMA)

- Was ist SMA? 4
- Was sind die verschiedenen SMA-Typen? 5
- Wodurch wird SMA verursacht? 6
- Wie bekommt man SMA? 7

Über Zolgensma®

- Was ist Zolgensma®? 8
- Zolgensma® bei fortgeschrittener SMA? 9

Die Risiken von Zolgensma® verstehen 10

Wichtige Sicherheitsinformationen und mögliche Nebenwirkungen von Zolgensma®.

Behandlung mit Zolgensma® 15

- Vor der Behandlung 16
- Am Behandlungstag 18
- Nach der Behandlung 20

Wann Sie einen Arzt aufsuchen sollten 23

Kontaktdaten des Arztes 24

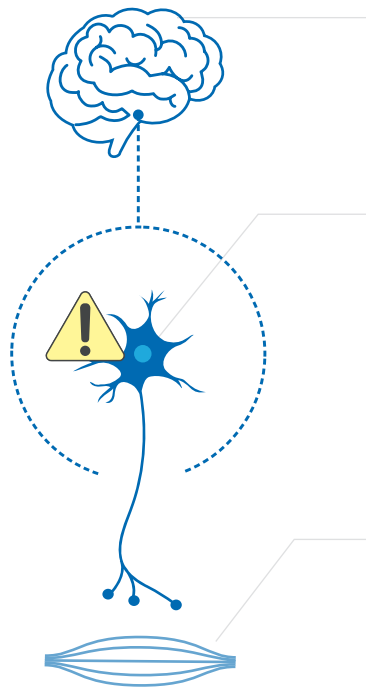
Lokale Patientenvereinigungen 25

Glossar 26

Hier finden Sie hilfreiche Definitionen für Begriffe, die in dieser Broschüre verwendet werden.

Was ist SMA?

Die spinale Muskelatrophie (SMA) ist eine seltene genetische Erkrankung, bei der es zu Nervenverlust und Muskelschwund kommt. Dies geschieht, weil spezielle Nervenzellen im Körper, die die Muskelbewegungen steuern, so genannte Motoneuronen, sich verschlechtern und nicht mehr funktionieren.



Signale werden vom Gehirn gesendet

Auch bei Menschen mit SMA sendet das Gehirn noch die Signale, die die Muskeln zur Bewegung anregen.

Motoneuronen stellen ihre Funktion ein

Ein defektes Gen führt jedoch dazu, dass spezielle Nervenzellen, die sogenannten Motoneuronen, nicht mehr funktionieren. Diese senden eigentlich Signale vom Rückenmark an die Muskeln. Das bedeutet, dass die für die Bewegung verantwortlichen Signale des Gehirns die Muskeln nicht erreichen können.

Geschwächte Muskeln

Wenn Muskeln keine Bewegungssignale mehr empfangen, werden sie zunehmend schwächer (atrophiert).

Was sind die Symptome von SMA?

SMA hat eine Reihe von Symptomen, die sich je nach Person und Ausprägung unterschiedlich äußern. SMA kann alltägliche Aktivitäten wie Atmen, Essen, Sitzen, Krabbeln und Gehen beeinträchtigen. Je früher die Symptome der SMA auftreten, desto wahrscheinlicher ist ein schwerer Krankheitsverlauf.

Was sind die verschiedenen SMA-Typen?

Bei der Diagnosestellung können Menschen mit SMA je nach ihrem Alter bei Krankheitsbeginn und ihrem maximalen Funktionsvermögen, dem sogenannten „motorischen Meilenstein“, in verschiedene Typen eingeteilt werden. Zu den motorischen Meilensteinen, anhand derer sich der SMA-Typ bei einem Kind bestimmen lässt, zählen die folgenden motorischen Fähigkeiten:



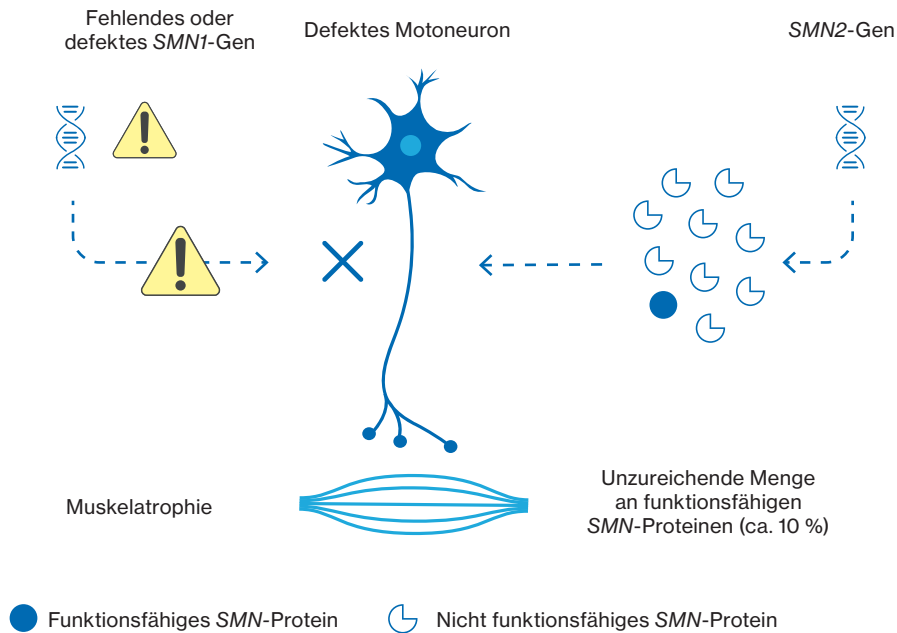
Alter zu Beginn	Geburt	≤ 6 Monate	6–18 Monate	> 18 Monate	≥ 18 Jahre
Funktionale Fähigkeit	Fötus kann vor der Geburt betroffen sein	Kann nicht eigenständig sitzen	Kann sitzen und stehen, aber nicht eigenständig laufen	Kann eigenständig laufen	Selbstständige Entwicklung bis ins Erwachsenenalter
Klassifikation	SMA Typ 0	SMA Typ 1	SMA Typ 2	SMA Typ 3	SMA Typ 4
Schweregrad	← Früher, schwerwiegend		→ Später, weniger schwerwiegend		

Ohne Intervention oder Behandlung haben Kinder mit schwereren Formen der SMA eine verkürzte Lebenserwartung. Bei frühzeitiger medizinischer Intervention und therapeutischer Behandlung kann die das Fortschreiten der Erkrankung verlangsamt werden, so dass die Kinder oft Meilensteine erreichen können, die im natürlichen Krankheitsverlauf selten erreicht wurden.

Wodurch wird SMA verursacht?

Ein Protein namens *SMN*-Protein (Survival Motor Neuron) ist für die ordnungsgemäße Funktion der Motoneuronen unerlässlich. Ohne das *SMN*-Protein stellen die Motoneuronen im Rückenmark ihre Arbeit ein und die Muskeln werden schwächer. Das *SMN*-Protein wird im Körper aus *SMN*-Genen hergestellt.

Bei SMA ist das Schlüsselgen *SMN*, bekannt als *SMN1*, defekt oder fehlt. Es gibt ein zweites *SMN*-Gen, das *SMN2*, das eher als „Sicherungskopie“ fungiert und nur geringe Mengen an *SMN*-Protein produziert. Bei SMA wird nicht genügend *SMN*-Protein produziert. Infolgedessen hören die Motoneuronen auf zu arbeiten und die Muskeln werden schwächer.

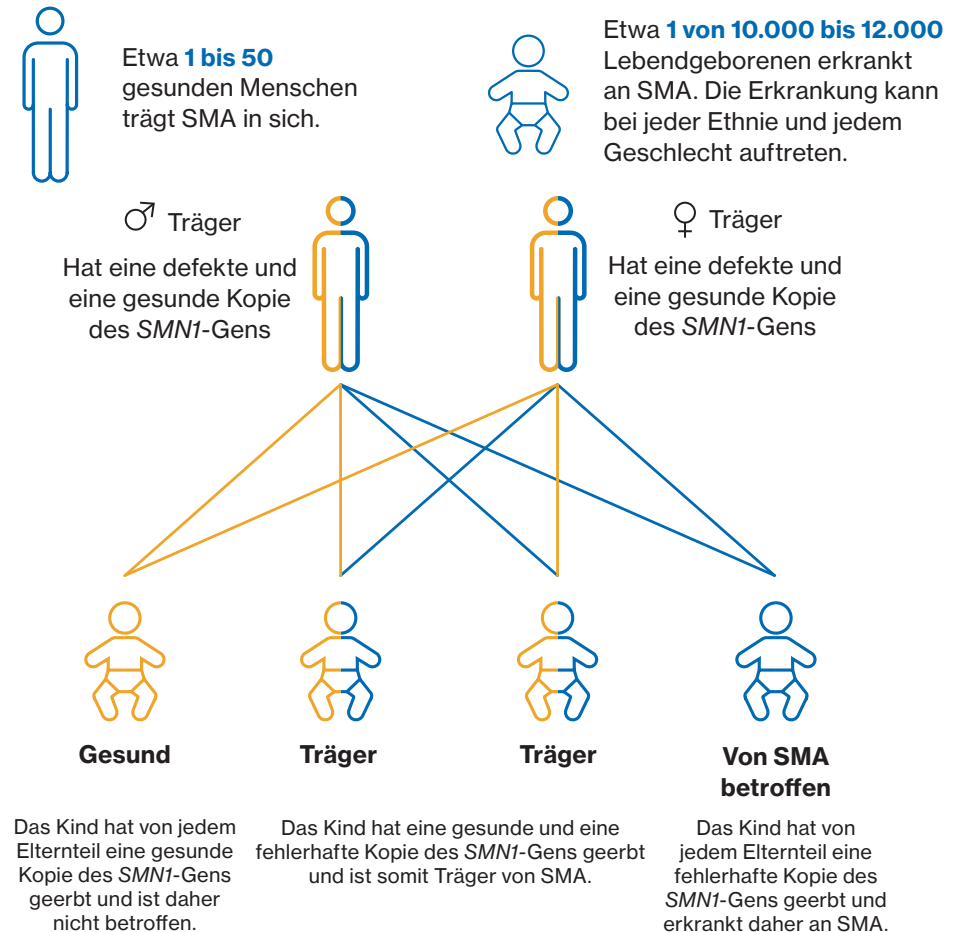


Wie bekommt man SMA?

SMA wird meist vererbt, manchmal wird sie aber auch durch einen zufälligen Fehler im *SMN1*-Gen verursacht.

Kinder erben zwei Kopien des *SMN1*-Gens, eine Kopie von jedem Elternteil. Die eine Hälfte der genetischen Informationen eines Kindes stammt von der Mutter und die andere Hälfte vom Vater.

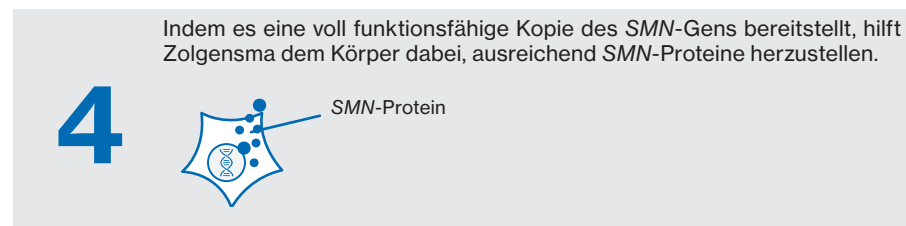
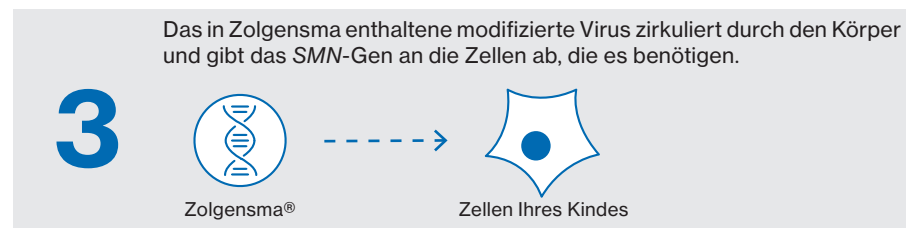
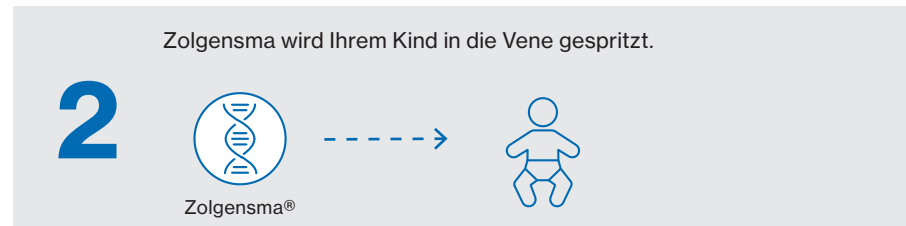
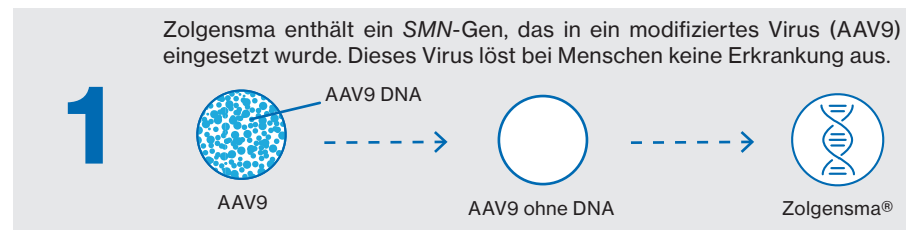
Menschen mit einem gesunden und einem defekten *SMN1*-Gen werden als Träger bezeichnet und zeigen in der Regel keine Anzeichen von SMA. Wenn beide Eltern Träger sind, liegt die Wahrscheinlichkeit, dass das Kind SMA erbt und entwickelt, bei 25 Prozent.



Was ist Zolgensma®?

Zolgensma® ist eine Behandlungsmethode für Säuglinge und Kleinkinder mit SMA. Die Behandlung mit Zolgensma® wird als „Gentherapie“ bezeichnet.

Zolgensma® besteht aus dem modifizierten Virus AAV9, das eine voll funktionsfähige Kopie des *SMN*-Gens enthält (das Gen, das bei SMA defekt ist). Mithilfe des AAV9-Virus in Zolgensma® wird das Ersatzgen in den Körper und die Zellen gebracht, wo es benötigt wird.



Zolgensma® bei fortgeschrittener SMA

Zolgensma® kann lebende Motoneuronen retten, jedoch keine toten Motoneurone. Kinder mit weniger schweren SMA-Symptomen können genügend lebende Motoneurone haben, um von einer Behandlung mit Zolgensma® signifikant zu profitieren. Zolgensma® wirkt möglicherweise nicht so gut bei Kindern mit schweren Symptomen.

Die Risiken von Zolgensma® verstehen

Wie alle Arzneimittel kann auch Zolgensma® Nebenwirkungen haben, die aber nicht bei jedem auftreten müssen.

**WENN BEI IHREM KIND NEBENWIRKUNGEN AUFTRETEN
SPRECHEN SIE SOFORT MIT DEM ARZT IHRES KINDES,
EINER PFLEGEKRAFT, EINEM APOTHEKER ODER
MEDIZINISCHEM FACHPERSONAL.**



Wichtige Sicherheitsinformationen und wann ein Arzt aufgesucht werden muss.



Lebererkrankungen

Informieren Sie den Arzt Ihres Kindes oder das medizinische Fachpersonal vor der Gabe dieses Arzneimittels, wenn Ihr Kind eine Lebererkrankung hatte.

In einigen Fällen kann Zolgensma® zu einer Immunreaktion und dadurch zu einem Anstieg der von der Leber produzierten Enzyme (Proteine, die im Körper vorkommen) oder zu einer Schädigung der Leber führen.

Eine Schädigung der Leber kann schwerwiegende Folgen wie Leberversagen haben oder Ihr Kind könnte daran sterben. Mögliche Anzeichen für eine Schädigung der Leber sind Erbrechen, Gelbsucht (Gelbfärbung der Haut oder der weißen Bereiche im Auge) oder verminderte Wachsamkeit bzw. Reaktionsfähigkeit.

Informieren Sie umgehend den behandelnden Arzt, wenn Sie bei Ihrem Kind Symptome bemerken, die auf eine Leberschädigung hindeuten.



Blutgerinnungsstörungen

Zolgensma® könnte das Risiko einer Blutgerinnungsstörungen in kleinen Blutgefäßen erhöhen (thrombotische Mikroangiopathie). Dies betrifft im Allgemeinen die ersten zwei Wochen nach der Behandlung. Diese Blutgerinnsel können die Nieren Ihres Kindes beeinträchtigen. Die thrombotische Mikroangiopathie ist schwerwiegend und kann zum Tod führen. Informieren Sie Ihren Arzt sofort, wenn Sie Symptome oder Anzeichen wie Blutergüsse, Anfälle (Krämpfe) oder eine Abnahme der Harnausscheidung bemerken.

Beobachten Sie diese Symptome und Anzeichen sehr genau, denn eine abnorme Blutgerinnung (thrombotische Mikroangiopathie) ist ernst und kann lebensbedrohlich sein, wenn sie nicht behandelt wird.



Niedrige Blutplättchenzahl

Zolgensma® kann die Anzahl der Blutplättchen verringern (Thrombozytopenie). Die Fälle traten gewöhnlich innerhalb der ersten 3 Wochen nach der Infusion mit Zolgensma® auf.

Mögliche Symptome einer niedrigen Thrombozytenzahl, auf die Sie achten sollten, nachdem Ihr Kind Zolgensma® erhalten hat, sind abnormale Blutergüsse oder Blutungen. Sprechen Sie mit Ihrem Arzt, wenn Sie Symptome wie Blutergüsse oder länger als normal andauernde Blutungen bemerken, wenn sich Ihr Kind verletzt hat.



Erhöhtes Troponin-I

Zolgensma® kann zu erhöhten Werten von Troponin-I führen, einem im Herzmuskel vorkommenden Protein, das auf Schädigungen des Herzens hinweisen kann. Sie sollten nach der Verabreichung von Zolgensma® an Ihr Kind auf möglichen Anzeichen von Herzproblemen wie blasse graue Hautverfärbung, Atembeschwerden, (z. B. schnelle Atmung, Kurzatmigkeit), Anschwellen der Arme und Beine oder des Bauches achten.

Vor der Behandlung mit Zolgensma® wird bei Ihrem Kind eine Blutuntersuchung durchgeführt, um die Leberfunktion, die Nierenfunktion, die Anzahl der Blutzellen (einschließlich roter Blutkörperchen und Blutplättchen) und die Troponin-I-Werte zu prüfen. Über mindestens 3 Monate nach der Therapie werden bei Ihrem Kind regelmäßige Blutuntersuchungen durchgeführt zur Überwachung der Leberfunktion und der Veränderung der Anzahl der Blutplättchen und der Troponin-I-Werte. Abhängig von den Werten und anderen Beschwerden und Symptomen können weitere Untersuchungen erforderlich sein. Die Dauer dieser Untersuchungen werden von dem Arzt Ihres Kindes festgelegt.



Weitere Informationen über Zolgensma® finden Sie in der Packungsbeilage des Arzneimittels Ihres Kindes. Zögern Sie nicht, sich bei Fragen an das medizinische Team Ihres Kindes zu wenden.

Die Risiken Zolgensma® verstehen (Fortsetzung)



Allergien

Zolgensma® darf nicht angewendet werden, wenn Ihr Kind allergisch gegen Zolgensma® oder einen der genannten sonstigen Bestandteile dieses Arzneimittels ist (Die Inhaltsstoffe sind in Abschnitt 6 der Packungsbeilage aufgeführt, die dem Arzneimittel Ihres Kindes beiliegt).



Kortikosteroide

Vor und Nach der Behandlung mit Zolgensma® erhält Ihr Kind für einen bestimmten Zeitraum ein Kortikosteroid, wie beispielsweise Prednisolon oder ein Äquivalent.

Die Dauer der Kortikosteroidgabe an Ihr Kind nach der Behandlung mit Zolgensma® hängt von den Leberenzymwerten und anderen Anzeichen und Symptomen ab und wird vom Arzt Ihres Kindes festgelegt. Dieser Zeitraum beträgt mindestens 2 Monate.

Kortikosteroide werden dabei helfen, einen möglichen Anstieg der Leberenzyme, den Ihr Kind nach einer Immunreaktion auf Zolgensma® entwickeln könnte, zu kontrollieren. Die Dosierung des Kortikosteroids, die Ihr Kind erhält, wird vom Arzt Ihres Kindes anhand des Körpergewichts Ihres Kindes ermittelt.

Während der Behandlung mit Kortikosteroiden kann Ihr Kind mit neuen Infektionen oder anderen häufigen Kinderkrankheiten konfrontiert sein, die die Anwendung anderer Arzneimittel erfordern können. Vor der Behandlung mit anderen Arzneimitteln oder wenn Sie Fragen zu Kortikosteroiden haben, ist es wichtig, dass Sie den Arzt Ihres Kindes, die medizinische Fachkraft oder den Apotheker/das medizinische Fachpersonal kontaktieren.



Infektion

Ihr Kind kann durch die Verabreichung von Kortikosteroiden ein geschwächtes Immunsystem haben. Dadurch können Infektionen, die gesunde Personen abwehren können, Ihr Kind schwer krank machen.

Eine Infektion (z. B. Erkältung, Grippe oder Bronchiolitis) **vor** oder **nach** der Behandlung mit Zolgensma® kann möglicherweise zu schwerwiegenden Komplikationen führen, die möglicherweise dringend ärztliche Hilfe erfordern.

Informieren Sie unverzüglich den Arzt Ihres Kindes, wenn Sie feststellen, dass Ihr Kind eines dieser Symptome entwickelt:

- Husten
- Pfeifendes Atmen
- Niesen
- Laufende Nase
- Halsschmerzen
- Fieber

Vor und nach der Behandlung mit Zolgensma® ist es wichtig, Infektionen vorzubeugen, indem Sie Situationen vermeiden, die das Risiko einer Infektion erhöhen könnten. Sie und enge Kontaktpersonen Ihres Kindes können dazu beitragen, Infektionen vorzubeugen, indem Sie gute Handhygiene betreiben, sich beim Husten/Niesen angemessen verhalten und mögliche Kontakte einschränken.



Andere Arzneimittel und Zolgensma®

Informieren Sie den Arzt Ihres Kindes oder das medizinische Fachpersonal, wenn bei Ihrem Kind andere Arzneimittel angewendet werden, kürzlich andere Arzneimittel angewendet worden sind oder beabsichtigt wird, andere Arzneimittel anzuwenden.

Behandlung mit Zolgensma®

Die folgenden Seiten geben Ihnen darüber Auskunft, wie Sie sich auf den Behandlungstag vorbereiten und was Sie am Behandlungstag erwarten können:

- 1** Vor der behandlung
- 2** Am behandlungstag
- 3** Nach der Behandlung

1. Vor der Behandlung

Um die Entscheidung zu erleichtern, ob Zolgensma® für Ihr Kind geeignet ist, führt der Arzt Ihres Kindes vor der Behandlung Antikörpertests durch.



Anti-AAV9-Antikörpertest

Antikörper werden vom körpereigenen Immunsystem produziert, um es vor Erkrankungen zu schützen. Das Vorkommen bestimmter Antikörper, sogenannte AAV9- Antikörper, kann bei Ihrem Kind eine Immunreaktion auf Zolgensma® hervorrufen. Der Arzt Ihres Kindes wird vor der Behandlung einige Tests auf Antikörper durchführen, um zu entscheiden, ob dieses Arzneimittel für Ihr Kind geeignet ist.

Ihr Kind kann erhöhte AAV9-Antikörper aufweisen. Bei Neugeborenen kann es sich um Antikörper handeln, die während der Schwangerschaft von der Mutter auf das Kind übertragen wurden. Diese Erhöhungen gehen normalerweise mit der Zeit nach der Geburt zurück. Wenn Ihr Kind nach dem ersten Test erhöhte AAV9-Antikörper aufweist, kann es nach einer gewissen Zeit erneut getestet werden. Sollten Sie dazu Fragen haben, wenden Sie sich bitte an den Arzt Ihres Kindes.



Blutuntersuchungen

Vor der Behandlung mit Zolgensma® wird bei Ihrem Kind eine Blutuntersuchung durchgeführt, um die Ausgangswerte zu prüfen:

- Leberfunktion
- Nierenfunktion
- Zahl der Blutzellen (einschließlich roter Blutkörperchen und Blutplättchen)
- Troponin-I-Werte

Diese Ausgangswerte helfen dem Arzt Ihres Kindes, die Veränderungen der Werte nach der Behandlung zu beurteilen.



Kortikosteroide

24 Stunden vor der Anwendung von Zolgensma® erhält Ihr Kind Kortikosteroide (Prednisolon oder ein Äquivalent) zum Einnehmen zur Kontrolle eines möglichen Anstiegs der Leberenzyme.

Die Kortikosteroid-Dosis hängt vom Körpergewicht Ihres Kindes ab. Der Arzt Ihres Kindes wird die erforderliche Gesamtdosis berechnen. Um zu verhindern, dass Ihr Kind die Kortikosteroid-Dosierung versäumt, informieren Sie den Arzt Ihres Kindes, eine Pflegekraft, einen Apotheker oder medizinisches Fachpersonal im Falle von Erbrechen vor der Behandlung mit Zolgensma®.



Infektion

Teilen Sie dem Arzt Ihres Kindes oder dem medizinischen Fachpersonal **vor** oder **nach** der Behandlung mit Zolgensma® sofort mit, wenn Ihr Kind Anzeichen oder Symptome hat, die auf eine Infektion hinweisen. Wenn Ihr Kind vor der Behandlung mit Zolgensma® Anzeichen und Symptome einer Infektion zeigt, muss die erste Infusion möglicherweise bis zum Abklingen der Infektion verschoben werden. Wenn Ihr Kind nach der Behandlung mit Zolgensma® Symptome aufweist, kann dies zu medizinischen Komplikationen führen, die möglicherweise dringend eine ärztliche Betreuung erfordern.

Siehe Seite 13 für Anzeichen einer möglichen Infektion.



Allgemeiner Gesundheitszustand

Vor der Behandlung mit Zolgensma® ist es wichtig, dass der allgemeine Gesundheitszustand Ihres Kindes ausreichend ist (z. B. Flüssigkeitszufuhr und Ernährungszustand, Abwesenheit von Infektionen), andernfalls muss die Behandlung möglicherweise verschoben werden. Wenn Sie sich über den allgemeinen Gesundheitszustand Ihres Kindes vor der Behandlung mit Zolgensma® Sorgen machen, wenden Sie sich an den Arzt, das Pflegepersonal oder den Apotheker/anderen Gesundheitsdienstleister Ihres Kindes.

2. Am Behandlungstag

Der Arzt Ihres Kindes oder das medizinische Fachpersonal wird Sie darüber informieren, wie der Behandlungstag abläuft und welche Vorbereitungen getroffen werden müssen.



Prednisolon

Die erste Dosis Kortikosteroide (Prednisolon oder ein Äquivalent) wurde Ihrem Kind 24 Stunden vor der Anwendung von Zolgensma® gegeben. Siehe Seite 17 für Informationen zur Kortikosteroidgabe vor der Behandlung mit Zolgensma®.

Am Tag der Behandlung wird Ihr Kind eine zweite Dosis Prednisolon (oder ein anderes Kortikosteroid) zum Einnehmen erhalten.

Das Kortikosteroid-Dosierungsschema ist wichtig, um einen eventuellen Anstieg der Leberenzyme zu kontrollieren, und wird nach der Behandlung noch einige Zeit fortgesetzt. Informationen zur Dosierung von Kortikosteroiden nach der Behandlung mit Zolgensma® finden Sie auf Seite 20. Um sicherzustellen, dass Ihr Kind die Einnahme des Kortikosteroids nicht versäumt hat, sollten Sie den Arzt, das Pflegepersonal oder den Apotheker/anderen Gesundheitsdienstleister Ihres Kindes informieren, wenn Ihr Kind nach Einnahme der Kortikosteroiddosis erbrochen hat.



Zolgensma®-Infusie

Zolgensma® wird Ihrem Kind als einmalige, intravenöse Infusion gegeben. Dies beinhaltet das Legen eines venösen Zugangs bei Ihrem Kind. Zur Sicherheit wird Ihrem Kind ein zweiter venöser Zugang gelegt, falls der primäre Zugang blockiert ist. Zolgensma® wird Ihrem Kind von einem Arzt oder einer medizinischen Fachkraft verabreicht, der/die in der Behandlung der Erkrankung Ihres Kindes geschult ist. Die Infusion wird über einen Zeitraum von etwa 60 Minuten gegeben.

Die Menge an Zolgensma®, die Ihr Kind erhält, wird vom Arzt anhand des Körpergewichts Ihres Kindes ermittelt.



Zolgensma® wird Ihrem Kind nur EINMAL gegeben.

3. Nach der Behandlung

Wie lange Ihr Kind im Anschluss an die Behandlung mit Zolgensma® im Krankenhaus bleiben muss, wird vom Arzt Ihres Kindes entschieden. Wenn Sie Fragen haben, sprechen Sie mit dem Arzt Ihres Kindes oder dem medizinischen Fachpersonal.



Verabreichung von Kortikosteroiden nach Zolgensma®



Ihr Kind wird nach der Verabreichung von Zolgensma® etwa zwei Monate lang täglich mit Kortikosteroiden behandelt oder so lange, bis die erhöhten Leberenzymwerte Ihres Kindes auf ein akzeptables Niveau gesunken sind. Die Ihrem Kind verabreichte Kortikosteroid-Dosis wird langsam reduziert, bis die Behandlung vollständig eingestellt werden kann.

Das medizinische Team Ihres Kindes wird entscheiden und erklären, wann und wie es die Behandlung für Ihr Kind beendet. Um sicherzustellen, dass Ihr Kind keine Dosis des Kortikosteroids auslässt, informieren Sie den Arzt, das Pflegepersonal oder den Apotheker/anderen Gesundheitsdienstleister Ihres Kindes, wenn es sich erbricht oder die Einnahme **(aus welchem Grund auch immer)** nach der Behandlung mit Zolgensma® versäumt. Beenden Sie die Behandlung mit Kortikosteroiden erst, nachdem Sie dies mit dem Arzt, der Pflegekraft oder dem Apotheker/anderen Gesundheitsdienstleister Ihres Kindes besprochen haben.

Wenn Sie Fragen zu Kortikosteroiden haben, wenden Sie sich an den Arzt, die Pflegekraft oder den Apotheker/anderen Gesundheitsdienstleister Ihres Kindes.

Regelmäßige Nachuntersuchungen



Nach der Behandlung mit Zolgensma® wird Ihr Kind weiterhin regelmäßig von einem erfahrenen Behandlungsteam betreut. Ihr Kind wird je nach Bedarf Nachsorgeuntersuchungen haben, z. B. wenn allgemeine Untersuchungen anstehen oder falls Ihr Kind unter Nebenwirkungen leidet oder Sie Bedenken oder Fragen haben.

Es ist wichtig, dass Patienten mit SMA eine angemessene Versorgung und unterstützende Pflege bekommen. Besprechen Sie dazu mit dem Arzt Ihres Kindes, wie das Behandlungsteam Ihr Kind weiterhin unterstützen kann.



Regelmäßige Blutuntersuchungen

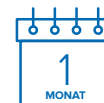
Nach der Behandlung mit Zolgensma® werden bei Ihrem Kind regelmäßige Blutuntersuchungen durchgeführt:

- Leberfunktion – um zu kontrollieren, ob die Leberenzyme erhöht sind, werden nach der Behandlung mindestens 3 Monate lang regelmäßige Untersuchungen durchgeführt. Wenn sich die Leberfunktion Ihres Kindes nach der Behandlung mit Zolgensma® verschlechtert oder wenn es Krankheitsanzeichen aufweist, wird Ihr Kind sofort untersucht und engmaschig von seinem Arzt überwacht.

- Anzahl der Blutplättchen und Troponin-I-Wert – für einen bestimmten Zeitraum werden diese Werte regelmäßig auf Veränderungen überwacht.

Abhängig von den Ergebnissen dieser Blutuntersuchung und anderen Anzeichen und Symptomen können weitere Untersuchungen erforderlich sein. Es ist wichtig, dass Sie den Zeitplan für die Blutuntersuchung strikt einhalten und alle Anzeichen und Symptome, die Ihr Kind nach der Behandlung entwickelt, unverzüglich dem medizinischen Team Ihres Kindes melden.

Hygienepflege



Der Wirkstoff in Zolgensma® kann vorübergehend über die Exkremente Ihres Kindes ausgeschieden werden. Sie und weitere Betreuungspersonen sollten nach der Behandlung mit Zolgensma® bis zu mindestens einen Monat lang eine gute Handhygiene befolgen, wie unten beschrieben.



Tragen Sie Schutzhandschuhe, wenn Sie mit den Körperflüssigkeit (Urin) oder Körperausscheidung (Stuhl) Ihres Kindes in direkten Kontakt kommen.



Waschen Sie sich anschließend die Hände gründlich mit Seife und fließend warmem Wasser oder einem Handreiniger auf Alkoholbasis.



Zur Beseitigung von verschmutzten Windeln und anderen Abfällen sollten **Doppelbeutel** benutzt werden. Einwegwindeln können weiterhin im Hausmüll entsorgt werden.

Wenn Sie Fragen haben zum Umgang mit den Körperausscheidungen Ihres Kindes, wenden Sie sich an den Arzt Ihres Kindes, eine Pflegekraft, einen Apotheker oder medizinisches Fachpersonal.

3. Nach der Behandlung (Fortsetzung)

Unterstützende Behandlung

Zolgensma® liefert eine voll funktionsfähige Kopie des SMN-Gens, doch Ihr Kind hat weiterhin SMA.

Folgende weitere Maßnahmen können in der SMA-Therapie unterstützend eingesetzt werden:



Orthopädische
Behandlungen



Physiotherapeutische
Behandlungen



Ernährungs-
unterstützung



Beatmung, z.B.
durch eine
Schlafmaske



Vorbeugung von
Atemwegsinfektionen,
(z. B. Vorbeugung von Grippe
und Lungenentzündung
durch Impfungen)



Unterstützung zum
Freimachen der
Atemwege

Sprechen Sie mit Ihrem neuromuskulären Spezialisten über die unterstützenden Maßnahmen, welche Ihr Kind nach der Behandlung benötigt.



Wann Sie einen Arzt aufsuchen sollten

BEGEBEN SIE SICH IN ÄRZTLICHE NOTFALL-BEHANDLUNG, WENN EINE DER FOLGENDEN SYMPTOME BEI IHREM KIND AUFTRITT



- **Blutergüsse** oder **Blutungen**, die länger als üblich andauern, wenn Ihr Kind verletzt wurde: Dies können Anzeichen für eine niedrige Blutplättchenzahl sein (Thrombozytopenie).
- **Vermeehrt auftretende Blutergüsse, Krampfanfälle (Anfälle), Abnahme der Urinausscheidung** – dies können Anzeichen einer Blutgerinnungsstörung in kleinen Blutgefäßen (thrombotische Mikroangiopathie) sein. Auf diese Anzeichen und Symptome ist besonders zu achten, da eine abnormale Blutgerinnung lebensbedrohlich sein kann, wenn sie nicht behandelt wird.
- **Erbrechen, Gelbsucht** (Gelbfärbung der Haut oder der weißen Bereiche im Auge) oder **verminderte Wachsamkeit** – dies können Anzeichen für eine Schädigung der Leber sein (u. a. Leberversagen).
- **Blassgraue oder blaue Hautfarbe, Atembeschwerden** (z. B. schnelle Atmung, Kurzatmigkeit), **Schwellungen der Arme und Beine oder des Bauches** – dies können Anzeichen für mögliche Herzprobleme sein.
- **Husten, pfeifendes Atmen, Niesen, laufende Nase, Halsschmerzen oder Fieber** – dies können Anzeichen für eine Infektion sein (z. B. Erkältung, Grippe oder Bronchiolitis).

Kontaktinformationen des Arztes

Ihr Kind wird auch nach der Zolgensma®-Infusion von einem medizinischen Fachteam überwacht. Wenn Sie Bedenken haben und mit dem Arzt oder dem Behandlungsteam Ihres Kindes sprechen möchten, verwenden Sie bitte das folgende Formular, um die Kontaktdaten zu notieren.

Name	
Funktion	
Telefonnummer	
E-mail	
<hr/>	
Name	
Funktion	
Telefonnummer	
E-mail	
<hr/>	
Name	
Funktion	
Telefonnummer	
E-mail	
<hr/>	
Name	
Funktion	
Telefonnummer	
E-mail	

Lokale Patientenvereinigungen

Weltweit gibt es zahlreiche Patientenvereinigungen, die Ihnen und Ihrem Kind mit SMA helfen können. Sie können Informationen über SMA, aktuelle Forschungsergebnisse und Unterstützung durch die Gemeinschaft bieten. Sprechen Sie mit dem Arzt oder dem Behandlungsteam Ihres Kindes, um Informationen über Gruppen in Ihrer Nähe zu erhalten.

Glossar

Adenoassoziiertes Virus 9 (AAV9)

Adenoassoziiertes Virus 9 (AAV9) ist eine Virusvariante, welche beim Menschen keine Krankheiten verursacht. Bei Zolgensma® wird das SMN-Gen in dieses veränderte Virus (AAV9) verpackt und in die Zellen eingebracht.

Antikörper

Antikörper werden vom körpereigenen Immunsystem produziert, um den Körper vor Krankheiten zu schützen. Jeder Antikörpertyp ist einzigartig und verteidigt den Körper gegen eine bestimmte Art von Krankheit.

Atrophie

Atrophie bedeutet verkümmern oder schrumpfen. Zum Beispiel wird ein Muskel, der verkümmert, als atrophierte Muskel bezeichnet.

Desoxyribonukleinsäure (DNA)

DNA steht für Desoxyribonukleinsäure. In Form von DNA sind die Erbinformationen des Menschen und fast aller anderen Organismen gespeichert. Fast jede Zelle des Körpers hat die gleiche DNA.

Gene

Gene sind eine Reihe von Anweisungen, die dem Körper sagen, wie er Proteine produzieren soll. Gene treten paarweise auf: Von jedem Elternteil wird je eine Kopie vererbt.

Gentherapie

Gentherapie ist eine Möglichkeit, das Fortschreiten einer Krankheit mithilfe von Genen zu behandeln oder zu verhindern. Es gibt verschiedene Arten der Gentherapie, die auf unterschiedliche Weise funktionieren. Dazu gehören das Ersetzen oder Reparieren fehlender oder fehlerhafter Gene, das Hinzufügen eines neuen Gens, damit ein anderes Medikament besser wirkt, oder das Stoppen des Ablesens eines Gens, das zu viel von einem Protein produziert, das dann für den Körper giftig wird.

Genetische Erkrankung

Eine Erkrankung, die durch ein fehlerhaftes oder fehlendes Gen verursacht wird. Genetische Erkrankungen werden meist vererbt. SMA ist ein Beispiel für eine genetische Erkrankung.

Hirnstamm

Der Hirnstamm ist ein Teil des Gehirns, der wichtige Funktionen im Körper unterstützt, wie etwa Atmung und Schlaf. Der Hirnstamm verbindet das Rückenmark mit dem Rest des Gehirns.

Intravenöse Infusion

Eine Infusion, welche über einen Katheter (Kunststoffschlauch), mit einer Nadel in die Vene eingeführt wird.

Kortikosteroide

Kortikosteroide sind eine Art von Medikamenten, die eine Immunreaktion unterdrücken. Die Gabe von Kortikosteroiden soll einen möglichen Anstieg der Leberenzyme nach der Behandlung mit Zolgensma® kontrollieren.

Motoneuron

Diese spezialisierten motorischen Nervenzellen leiten die Signale vom Gehirn zu den Muskeln um Bewegungen zu kontrollieren. Man unterscheidet das obere Motoneuron, das die Signale vom Gehirn zu Hirnstamm und Rückenmark leitet, sowie das untere Motoneuron, das die Signale vom oberen Motoneuron zu den Muskeln leitet.

Nebenwirkungen

Eine Nebenwirkung ist eine sekundäre, meist unerwünschte Wirkung eines Medikaments.

Prednisolon

Prednisolon ist ein Kortikosteroid, welches hilft, einen möglichen Anstieg der Leberenzyme nach der Behandlung mit Zolgensma® zu kontrollieren.

Protein

Proteine sind wichtige Bausteine, die an fast jeder Funktion im Körper beteiligt sind. Proteine helfen beim Aufbau der Körperzellen und unterstützen die Zellen beim Transport und der Produktion wichtiger Substanzen, bei der Reparatur und beim Überleben.

SMA (spinale Muskelatrophie)

Spinale Muskelatrophie (SMA) ist eine seltene Krankheit, bei der die Muskeln allmählich schwächer werden, weil spezialisierte Nervenzellen im Körper, die die Muskelbewegung steuern, sogenannte Motoneuronen, aufhören zu arbeiten. Die Motoneuronen verkümmern und hören auf zu arbeiten, weil nicht genug SMN-Protein zur Verfügung steht.

SMN1-Gen

Das SMN1-Gen ist das primäre SMN-Gen, das SMN-Protein produziert, welches die Motoneuronen benötigen, um richtig zu funktionieren. Bei Menschen mit SMA fehlen beide Kopien dieses Gens oder sind fehlerhaft. Dies bedeutet, dass die Zellen des Körpers nicht in der Lage sind, genügend SMN-Protein zu produzieren.

SMN2-Gen

Das SMN2-Gen fungiert als "Aushilfs-Gen" zur Unterstützung der SMN-Proteinproduktion. SMN2 produziert nur geringe Mengen an funktionalem SMN-Protein.

SMN-Protein (Survival Motor Neuron)

Das SMN-Protein wird von den Motoneuronen benötigt, damit sie richtig funktionieren und überleben. Ohne ausreichend SMN-Protein verkümmern die Motoneurone und hören auf zu arbeiten. SMN-Protein wird vom Körper aus dem SMN-Gen hergestellt.

Thrombozyten

Thrombozyten sind Blutzellen, die für die Blutgerinnung sorgen.

Nebenwirkungen melden

Wenn bei Ihrem Kind Nebenwirkungen auftreten, wenden Sie sich an den Arzt oder das medizinische Fachpersonal Ihres Kindes. Dies gilt auch für mögliche Nebenwirkungen, die nicht in der Packungsbeilage aufgeführt sind. Sie können Nebenwirkungen auch direkt melden (siehe Details unten). Indem Sie Nebenwirkungen melden, können Sie dazu beitragen, dass mehr Informationen über die Sicherheit dieses Arzneimittels zur Verfügung gestellt werden.

In Belgien

Föderalagentur für Arzneimittel und Gesundheitsprodukte

www.afmps.be

Abteilung Vigilanz:

Website: www.notifieruneffetindesirable.be

e-mail: adr@fagg-afmps.be

In Luxemburg

Centre Régional de Pharmacovigilance de Nancy oder Abteilung Pharmazie und Medikamente (Division de la pharmacie et des médicaments) der Gesundheitsbehörde in Luxemburg

Website : www.guichet.lu/pharmakovigilanz

Dieser Leitfaden wurde von Novartis Pharma S.A. erstellt. Die bereitgestellten Informationen dienen ausschließlich der Aufklärung und ersetzen nicht das Gespräch mit Ihrem Arzt oder medizinischem Fachpersonal. Die Informationen beziehen sich auf spinale Muskelatrophie und sind als allgemeiner Überblick gedacht.

FA-11297258 | Datum: November 2024

© 2024 Novartis Pharma S.A. Alle Rechte vorbehalten.