

De Europese gezondheidsautoriteiten hebben bepaalde voorwaarden verbonden aan het in de handel brengen van het geneesmiddel Zolgensma®. Het verplicht plan voor risicobeperking in België, waarvan deze informatie deel uitmaakt, is een maatregel genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Zolgensma® te waarborgen (RMA versie 11/2024).

ZOLGENSMA®

(onasemnogene abeparvovec)

informatiebrochure voor beroepsbeoefenaren in de gezondheidszorg

▼ Dit geneesmiddel is onderworpen aan aanvullende monitoring.

Dit materiaal bevat niet alle informatie. Voor de volledige informatie: Lees aandachtig de SKP vooraleer Zolgensma® voor te schrijven.

De volledige en geactualiseerde tekst van deze SKP is beschikbaar op de website www.fagg.be, rubriek “Zoek informatie over een vergund geneesmiddel”.

Deze brochure is ontwikkeld ter ondersteuning van gezondheidszorgbeoefenaars die Zolgensma® voorschrijven, verstrekken en toedienen. De brochure is bedoeld als een leidraad betreffende belangrijke veiligheidsgebieden met betrekking tot levertoxiciteit en trombotische microangiopathie met Zolgensma® en om mogelijke risico's vóór, tijdens en na de behandeling te helpen beperken. Deze brochure moet samen met de Samenvatting van de Productkenmerken (SKP) worden gelezen.

ZOLGENSMA® is geïndiceerd voor de behandeling van:

- Patiënten met 5q spinale spieratrofie (SMA) met een bi-allelische mutatie in het 'survival motor neuron' 1 (*SMN1*) gen en een klinische diagnose van SMA Type 1, of
- Patiënten met 5q SMA met een bi-allelische mutatie in het *SMN1-gen* en maximaal 3 kopieën van het *SMN2-gen*.

De behandeling met Zolgensma® moet worden toegediend in een klinisch centrum onder toezicht van een arts die ervaren is in het behandelen van patiënten met SMA.

▼ Dit geneesmiddel is onderworpen aan aanvullende monitoring. Daardoor kan snel nieuwe veiligheidsinformatie worden vastgesteld. Gezondheidszorgbeoefenaars worden verzocht alle vermoedelijke bijwerkingen te melden.

Bedankt om de tijd te nemen om deze brochure door te nemen. Dit document is ontwikkeld om mogelijke risico's vóór de start van de behandeling met Zolgensma[®], op het moment van de infusie en na de infusie te helpen beperken door een leidraad te bieden die zich richt op de volgende veiligheidsgebieden:

- Levertoxiciteit
- Trombotische microangiopathie

Als u vragen of opmerkingen heeft over dit geneesmiddel, raadpleeg dan de SKP.

Nuttige contacten

Wat staat er in deze brochure?

Inzichten in de mogelijke risico's van Zolgensma[®]	6
• Levertoxiciteit	6
• Trombotische microangiopathie	6
• Aanvullende waarschuwingen	7
Mogelijke risico's met Zolgensma[®] beperken	8
• Vóór het begin van de behandeling	8
• Op het moment van de infusie	12
• Na de infusie en monitoring	15
Schema bloedonderzoek	18
Samenvattende Checklist	21

Inzichten in de mogelijke risico's van Zolgensma®

Belangrijke veiligheidsinformatie

Belangrijke geïdentificeerde risico's na behandeling met Zolgensma® worden hieronder beschreven. Raadpleeg de SKP voor de volledige veiligheids- en voorschrijfinformatie, aangezien er nog andere waarschuwingen en voorzorgsmaatregelen voor Zolgensma® gelden.



Levertoxiciteit

Immuungemedieerde levertoxiciteit na behandeling met Zolgensma® uit zich over het algemeen in verhoogde alanine-aminotransferase (ALAT) en/of aspartaataminotransferase (ASAT)-waarden.

Acute, ernstige leverschade en acuut leverfalen, waaronder fatale gevallen, zijn gemeld na behandeling met Zolgensma®. Dit gebeurt meestal binnen de 2 maanden na infusie en ondanks het ontvangen van corticosteroiden vóór en na infusie.

Levertoxiciteit kan een aanpassing van het immunomodulerende behandelingsschema, inclusief langere duur, verhoogde dosering of verlenging van de afbouw van corticosteroiden noodzakelijk maken.



Trombotische microangiopathie

Zolgensma® kan, meestal binnen de eerste 2 weken na de behandeling, het risico op trombotische microangiopathie (TMA) verhogen.

TMA is een acute en levensbedreigende aandoening die wordt gekenmerkt door trombocytopenie, microangiopathische hemolytische anemie en acute nierschade. Gevallen met fatale afloop werden waargenomen bij behandeling met Zolgensma®. Gelijktijdige activering van het immuunsysteem (zoals bij infecties en vaccinaties) werd ook gemeld als mogelijke trigger.

Als patiënten klachten, verschijnselen of laboratoriumresultaten vertonen die wijzen op TMA, dient direct gespecialiseerd advies te worden ingewonnen, en dient TMA onmiddellijk behandeld te worden zoals klinisch geïndiceerd.



Aanvullende waarschuwingen en voorzorgen in verband met Zolgensma® omvatten, maar zijn niet beperkt tot:

• Trombocytopenie

- Voorbijgaande afnames van het aantal bloedplaatjes, waarvan sommige aan de criteria van trombocytopenie beantwoordden, werden in klinische studies met Zolgensma® waargenomen.

• Verhoogde troponine-I

- Na de infusie met Zolgensma® zijn verhogingen van cardiale troponine-I-concentraties waargenomen.

Gelieve er rekening mee te houden dat aanvullende waarschuwingen en voorzorgen bij gebruik van Zolgensma® niet beperkt zijn tot de waarschuwingen en voorzorgen die in deze brochure worden vermeld. Raadpleeg de SKP voor de volledige veiligheidsinformatie van Zolgensma®.

Raadpleeg rubriek 4.4 van de SKP voor meer informatie betreffende waarschuwingen en voorzorgen bij gebruik van Zolgensma®.



Mogelijke risico's met Zolgensma® beperken

1. Vóór het begin van de behandeling

Informeert de verzorger(s) over de belangrijkste risico's van Zolgensma® en de klachten en symptomen daarvan, waaronder maar niet beperkt tot TMA, leverfalen en trombocytopenie.



Bloedonderzoek

Vorming van antistoffen tegen adenogeassocieerde virus serotype 9 (AAV9) kan plaatsvinden na natuurlijke blootstelling.

Voorafgaand aan de infusie met Zolgensma® moeten patiënten getest worden op de aanwezigheid van antistoffen tegen AAV9 met behulp van een op de juiste wijze gevalideerde test.

Het is nog niet bekend of, en zo ja onder welke omstandigheden, Zolgensma® veilig en effectief kan worden toegediend indien er sprake is van AAV9-antistoffen boven 1:50. Bij AAV9 antistoftiters boven 1:50 kan de test herhaald worden.

Vóór toediening van Zolgensma® dienen in de uitgangssituatie laboratoriumtesten te worden uitgevoerd, waaronder, maar niet beperkt tot:

- Leverfunctie: ALAT, ASAT, totaal bilirubine, albumine, protrombinetijd, partiële tromboplastinetijd (PTT) en internationale genormaliseerde ratio (INR)
- Creatinine
- Volledig bloedbeeld (waaronder hemoglobine en aantal bloedplaatjes)
- Troponine-I

Regelmatig bloedonderzoek is vereist gedurende minstens 3 maanden na de infusie met Zolgensma®. Raadpleeg pagina's 18-20 van deze brochure voor een gedetailleerd bloedtestschema.

Informeert de zorgverlener(s) over de noodzaak van regelmatige bloedafname

Zorgverleners moeten erop worden gewezen dat bloedonderzoek nodig is gedurende minstens 3 maanden na de behandeling met Zolgensma®. Naleving van het bloedtestschema is belangrijk om de beste patiëntresultaten te bekomen. Data en tijdstippen voor bloedonderzoek moeten voorafgaand aan de behandeling worden overeengekomen en geboekt.

Dosering van corticosteroiden

Na toediening van ZOLGENSMA® ontstaat er een immunrespons op de capside van de AAV9, dit kan leiden tot:



verhoogde concentraties van leveraminotferasen



verhoogde concentraties van troponine-I



verlaagde aantallen bloedplaatjes

Om de immunrespons te temperen wordt immunomodulatie met corticosteroiden aanbevolen.



24 uur voorafgaand aan de infusie met Zolgensma® wordt aanbevolen een corticosteroïd regimen te starten. Het volgende initiële geneesmiddelenvoorschrift wordt aanbevolen:

Prednisolon oraal 1 mg/kg/dag (of equivalent als een ander corticosteroïd wordt gebruikt)

Informeert zorgverlener(s) over het belang van corticosteroïd medicatie.

Informeert de zorgverlener over de urgentie om u op de hoogte te brengen van elk geval van braken, om zeker te zijn dat de patiënt geen dosis corticosteroïden mist.

Mogelijke risico's met Zolgensma® beperken

1. Vóór het begin van de behandeling (voortgezet)



Algemene gezondheidstoestand

Vanwege het verhoogde risico op ernstige systemische immunrespons wordt aanbevolen dat patiënten klinisch stabiel zijn in hun algemene gezondheidstoestand, waaronder hydratatie, voedingstoestand en afwezigheid van infectie.

Informeer de zorgverlener(s) over de noodzaak van verhoogde waakzaamheid bij preventie, controle en behandeling van infectie vóór en na de Zolgensma®-infusie.

De zorgverlener moet:

- op de hoogte worden gebracht van de klachten en symptomen die wijzen op infectie. Indien de patiënt klachten en symptomen vertoont, moet de zorgverlener dringend contact met u opnemen.
- infecties helpen voorkomen door situaties te vermijden die het risico op het krijgen van infecties van de patiënt kunnen verhogen, zoals een goede handhygiëne, etiquette wat betreft hoesten/niezen en het beperken van mogelijke contacten.
- informeer zorgverleners/ouders over het mogelijke infectierisico als onderdeel van besnijdenis en adviseer besnijdenis uit te voeren in een medische omgeving om het risico op infecties te beperken.

In geval van acute of chronische ongecontroleerde actieve infecties moet behandeling worden uitgesteld tot de infectie is verdwenen en de patiënt klinisch stabiel is.



Vaccinatieschema

Vóór het begin van de behandeling moet het vaccinatieschema van de patiënt worden geëvalueerd.

Waar mogelijk moet het vaccinatieschema worden aangepast aan de gelijktijdige toediening van corticosteroiden voorafgaand aan en na de infusie met Zolgensma®.

Seizoensgebonden profylactische behandelingen, ter voorkoming van infecties met respiratoir syncytieel virus (RSV), wordt aanbevolen en dienen up-to-date te zijn. Levende vaccins, zoals het bof, mazelen en rodehond- (BMR) en het varicellavaccin, mogen niet worden toegediend aan patiënten die behandeld worden met een immunosuppressieve dosis steroïden.



Gewicht

Patiënten krijgen een dosis van nominaal $1,1 \times 10^{14}$ vg/kg Zolgensma®. Het totale volume Zolgensma® dat de patiënt krijgt, wordt bepaald op basis van het lichaamsgewicht van de patiënt. De patiënt moet gewogen worden voorafgaand aan de behandeling om ervoor te zorgen dat de patiënt de juiste dosis krijgt.

Mogelijke risico's met Zolgensma® beperken

2. Op het moment van de infusie



Algemene gezondheidstoestand

Controleer of de algemene gezondheidsstatus van de patiënt geschikt is voor de infusie (bijv. resolutie van infecties) of dat uitstel gerechtvaardigd is.

Behandeling moet niet tegelijk worden gestart met actieve infecties, hetzij acute (zoals acute luchtweginfecties of acute hepatitis), hetzij ongecontroleerde chronische infecties (zoals chronische actieve hepatitis B), totdat de infectie is verdwenen. Als de patiënt klachten of verschijnselen vertoont die wijzen op infectie, moet de behandeling worden uitgesteld.

In geval van acute of chronische ongecontroleerde actieve infecties moet behandeling worden uitgesteld tot de infectie is verdwenen en de patiënt klinisch stabiel is.



Dosering van corticosteroiden

Controleer of de behandeling met corticosteroiden 24 uur vóór de infusie van Zolgensma® werd gestart.

Om de immunorespons te temperen, moet de patiënt zijn immunomodulerend behandelingsschema met corticosteroiden zijn gestart, waarbij de eerste dosis 24 uur voorafgaand aan de behandeling met Zolgensma® wordt gegeven. Op de dag waarop Zolgensma® wordt toegediend, moet de patiënt het schema voortzetten en de volgende dosis corticosteroiden krijgen:

Prednisolon oraal 1 mg/kg/dag (of equivalent als een ander corticosteroid wordt gebruikt)

Het immunomodulerende behandelingsschema moet gedurende 30 dagen worden gevolgd (inclusief de dag van toediening van Zolgensma®), gevolgd door een afbouwperiode van minimaal 28 dagen.

Zie pagina 15 voor de dosering van corticosteroiden na infusie.



Gewicht van de patiënt

De dosering van Zolgensma® wordt bepaald op basis van het lichaamsgewicht.

Indien er een vertraging optreedt tussen het bestellen van Zolgensma® en de infusie, moet de patiënt mogelijks opnieuw worden gewogen om de nauwkeurigheid van de dosis Zolgensma® te garanderen.

Neem onmiddellijk contact op met Novartis indien u zich zorgen maakt over een verandering in het lichaamsgewicht van de patiënt sinds de bestelling van de dosis Zolgensma® voor de patiënt.



Mogelijke risico's met Zolgensma® beperken

2. Op het moment van de infusie (voortgezet)



Zolgensma® infusie

Zolgensma® is alleen voor intraveneuze toediening van een enkelvoudige dosis.

Zolgensma® moet met een spuitpomp worden toegediend als een eenmalige intraveneuze infusie met een langzame infusie gedurende ongeveer 60 minuten. Het is raadzaam een tweede katheter (back-up katheter) in te brengen.

Het mag alleen als intraveneuze infusie worden toegediend. **Niet toedienen via een intraveneuze injectie of bolus.**

Na afloop van de infusie moet de lijn met natriumchloride oplossing worden gespoeld.

Zie rubriek 4.2 van de SKP voor belangrijke informatie over de dosering en toediening van Zolgensma®.



Zolgensma® bevat genetisch gemodificeerde organismen. U moet daarom gepaste voorzorgsmaatregelen nemen bij het hanteren of toedienen van Zolgensma®.

Voor gedetailleerde instructies over bereiding, hantering, accidentele blootstelling en verwijdering (inclusief de juiste hantering van lichaamsafval) van Zolgensma®, raadpleeg de SKP.

3. Na de infusie

Dosering van corticosteroiden na Zolgensma®

De behandeling met corticosteroiden moet ten minste 2 maanden worden voortgezet; en mag niet worden afgebouwd totdat ASAT/ALAT-niveaus onder 2 x bovengrens van de normaalwaarde (upper limit of normal, ULN) zijn en alle andere beoordelingen, bijv. totaal bilirubine, zich weer binnen het normale bereik bevinden.

Het kan nodig zijn deze behandelingsperiode te verlengen als de leverenzymen van de patiënt niet snel genoeg dalen, totdat de leverenzymen tot een aanvaardbaar niveau zijn gedaald. De dosis corticosteroid die aan de patiënt wordt toegediend, moet op dit moment langzaam worden afgebouwd totdat de behandeling volledig kan worden gestopt.



Prednisolon 1 mg/kg/dag moet oraal worden toegediend (of equivalent als een ander corticosteroid wordt gebruikt) gedurende 30 dagen, inclusief de dag van toediening van Zolgensma®. Aan het einde van de corticosteroiddoseringperiode (in totaal 30 dagen, inclusief de doses corticosteroiden vóór en na de infusie) moet de leverfunctie van de patiënt worden gecontroleerd.



Voor patiënten met niet-afwijkende resultaten (normaal klinisch onderzoek, normaal totaal bilirubine en wier ALAT- en ASAT-waarden beide lager zijn dan 2 x ULN aan het einde van de periode van 30 dagen):

Geleidelijk afbouwen van prednisolon (of equivalent) gedurende 28 dagen.

- Bijvoorbeeld: 2 weken 0,5 mg/kg/dag en vervolgens 2 weken 0,25 mg/kg/dag oraal prednisolon.



Voor patiënten met een afwijkende leverfunctie aan het eind van de periode van 30 dagen:

Voortzetten met prednisolon totdat de ASAT- en de ALAT-waarden lager zijn dan 2 x ULN en alle andere beoordelingen zich weer binnen het normale bereik bevinden, gevolgd door afbouwen gedurende 28 dagen of langer indien nodig.

Indien patiënten op enig moment niet adequaat reageren op het equivalent van 1 mg/kg/dag oraal prednisolon, op basis van het klinische beloop van de patiënt, dient onmiddellijk overleg met een kindergastroenteroloog of -hepatoloog en aanpassing van het aanbevolen immunomodulerend behandelingsschema, waaronder verhoging van de dosis, langere duur of verlenging van de corticosteroid-afbouw, te worden overwogen.



Mogelijke risico's met Zolgensma® beperken

3. Na de infusie (voortgezet)

Regelmatig bloedonderzoek

Nauwgezette en regelmatige controle (klinisch en laboratorium) van het beloop van de individuele patiënt moet gedurende ten minste 3 maanden plaatsvinden na infusie met Zolgensma®.



De leverfunctie (ALAT, ASAT, totaal bilirubine) moet regelmatig worden gecontroleerd gedurende ten minste 3 maanden na infusie met Zolgensma®.

Testen:

- moeten wekelijks worden uitgevoerd in de eerste maand en gedurende de gehele afbouwperiode van de corticosteroiden,
- gevolgd door om de twee weken gedurende nog een maand
- op andere tijdstippen zoals klinisch geïndiceerd.

Patiënten met verslechterende leverfunctietestresultaten en/of klachten of symptomen van acute ziekte moeten onmiddellijk klinisch worden beoordeeld en nauwlettend worden gevolgd.

Als patiënten niet adequaat reageren op corticosteroiden, of als leverschade wordt vermoed, raadpleeg dan onmiddellijk een kindergastroenteroloog of -hepatoloog.



Het aantal bloedplaatjes moet nauwkeurig worden gecontroleerd gedurende de eerste 3 weken na de infusie en vervolgens met regelmaat.

Na behandeling met Zolgensma® moet het aantal bloedplaatjes:

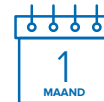
- ten minstens wekelijks worden gecontroleerd gedurende de eerste maand
- om de twee weken worden gecontroleerd gedurende de tweede en derde maand totdat het aantal bloedplaatjes genormaliseerd is tot de waarde in de uitgangssituatie.

Als TMA wordt vermoed, moet een specialist worden geraadpleegd.



Troponine-I-concentraties moeten gedurende ten minste 3 maanden na de infusie met Zolgensma® worden gecontroleerd of totdat de concentraties zich weer binnen het normale referentiebereik voor SMA-patiënten bevinden.

Overweeg, indien nodig, om een hartspecialist te raadplegen.



Tijdelijke uitscheiding

Zolgensma® wordt tijdelijk uitgescheiden, voornamelijk via afvalproducten van het lichaam, gedurende minimaal 1 maand na behandeling met Zolgensma®.

Geef de verzorger praktisch advies over het verwijderen van lichaamsafval. Deze aanwijzingen moeten worden opgevolgd gedurende ten minste 1 maand na de behandeling van hun kind met Zolgensma®.



Draag beschermende handschoenen wanneer u direct in contact komt met lichaamsvocht of lichaamsafval.



Was de handen nadien 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.

Schema bloedonderzoek

Maand 1 na behandeling met Zolgensma® (30 dagen)



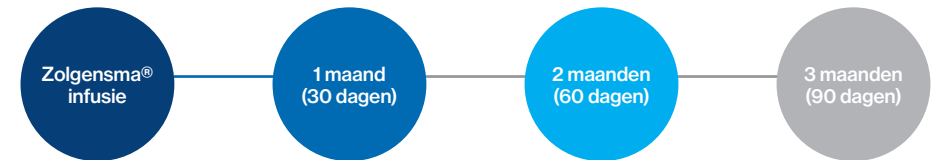
Bloedonderzoek

Gedurende de eerste maand na de behandeling met Zolgensma® heeft uw patiënt **wekelijks bloedonderzoek nodig om de leverfunctie en het aantal bloedplaatjes na te gaan**. Troponine-I-concentraties moeten gedurende ten minste 3 maanden volgend op Zolgensma® infusie worden gecontroleerd, of totdat de concentraties zich weer binnen het normale referentiebereik voor SMA-patiënten bevinden. Onderstaande tabel kan worden gebruikt als leidraad bij het bloedtestschema.

Aantal weken na behandeling met Zolgensma®	Bloedonderzoeken
Troponine-I (indien de concentraties niet zijn teruggekeerd tot het normale referentiebereik voor patiënten met SMA)	
Week 1	Leverfunctie Aantal bloedplaatjes
Week 2	Leverfunctie Aantal bloedplaatjes
Week 3	Leverfunctie Aantal bloedplaatjes
Week 4	Leverfunctie Aantal bloedplaatjes

Schema bloedonderzoek

Maand 2 na Zolgensma® behandeling (60 dagen)



Bloedonderzoek

Gedurende de tweede maand na de behandeling met Zolgensma® en gedurende de hele corticosteroïden afbouwperiode, heeft uw patiënt **wekelijks bloedonderzoek nodig om de leverfunctie na te gaan. Het aantal bloedplaatjes moet om de twee weken worden gecontroleerd** totdat het aantal bloedplaatjes genormaliseerd is tot de waarde in de uitgangssituatie. Troponine-I-concentraties moeten gedurende ten minste 3 maanden worden gecontroleerd of totdat de concentraties zich weer binnen het normale referentiebereik voor SMA-patiënten bevinden. Onderstaande tabel kan worden gebruikt als leidraad bij het bloedtestschema.

Aantal weken na behandeling met Zolgensma®	Bloedonderzoeken
Troponine-I (indien de concentraties niet zijn teruggekeerd tot het normale referentiebereik voor patiënten met SMA)	
Week 5	Leverfunctie
Week 6	Leverfunctie Aantal bloedplaatjes (indien niet teruggekeerd tot baseline)
Week 7	Leverfunctie
Week 8	Leverfunctie Aantal bloedplaatjes (indien niet teruggekeerd tot baseline)

Schema bloedonderzoek

Maand 3 na behandeling met Zolgensma® (90 dagen)



Bloedonderzoek

In de derde maand na de behandeling met Zolgensma® heeft uw patiënt regelmatig een bloedonderzoek nodig om de leverfunctie en het aantal bloedplaatjes (het aantal bloedplaatjes dat niet genormaliseerd is tot de waarde in de uitgangssituatie) na te gaan. Troponine-I-concentraties moeten gedurende ten minste 3 maanden worden gecontroleerd na infusie van Zolgensma® of totdat de concentraties zich weer binnen het normale referentiebereik voor SMA-patiënten bevinden. Onderstaande tabel kan worden gebruikt als leidraad bij het bloedtestschema.

Aantal weken na behandeling met Zolgensma®	Bloedonderzoeken
Troponine-I (indien de concentraties niet zijn teruggekeerd tot het normale referentiebereik voor patiënten met SMA)	
Week 9	Leverfunctie (voor een patiënt bij wie de leverfunctie na behandeling niet terugkeert naar de uitgangswaarde, of voor een patiënt in de afbouwperiode van de corticosteroiden)
Week 10	Leverfunctie Aantal bloedplaatjes (indien niet teruggekeerd tot baseline)
Week 11	Leverfunctie (voor een patiënt bij wie de leverfunctie na behandeling niet terugkeert naar de uitgangswaarde, of voor een patiënt in de afbouwperiode van de corticosteroiden)
Week 12	Leverfunctie Aantal bloedplaatjes (indien niet teruggekeerd tot baseline)

Tijdens en na de derde maand kunnen in bepaalde gevallen verdere bloedonderzoeken en monitoring nodig zijn, zoals hieronder beschreven.

- De leverfunctie moet wekelijks worden gecontroleerd tot het einde van de afbouwperiode van de corticosteroiden en op andere tijdstippen zoals klinisch geïndiceerd.
- Het aantal bloedplaatjes moet om de twee weken worden gecontroleerd totdat het aantal bloedplaatjes genormaliseerd is tot de waarde in de uitgangssituatie.
- Troponine-I-concentraties moeten worden gecontroleerd totdat de concentraties zich weer binnen het normale referentiebereik voor SMA-patiënten bevinden.

Samenvattende checklist

De onderstaande checklist is een samenvatting van handelingen die moeten worden ondernomen vóór de start, tijdens en na de infusie met Zolgensma®, om mogelijke risico's in verband met de behandeling met Zolgensma® te helpen beperken:

Vóór het begin van de behandeling

- Informeer de verzorgers over:
 - De belangrijkste risico's van Zolgensma® en de klachten en symptomen daarvan, waaronder TMA, leverfalen en trombocytopenie.
 - Praktisch advies over het verwijderen van lichaamsafval.
 - De noodzaak van regelmatige bloedafname.
 - Het belang van corticosteroidenmedicatie.
 - De noodzaak van verhoogde waakzaamheid bij de preventie, controle en behandeling van infecties vóór en na de Zolgensma®-infusie.
- Voer bloedonderzoek uit, inclusief het testen op de aanwezigheid van AAV9-antilichamen om de uitgangssituatie vast te stellen.
- Geef een dosis corticosteroiden 24 uur vóór de behandeling om de immunrespons te temperen.
- Evalueer het vaccinatieschema om te beslissen of deze moet worden aangepast.
- Controleer de algemene gezondheidstoestand, omdat de behandeling moet worden uitgesteld in het geval van klachten of verschijnselen die wijzen op infectie.
- Controleer het gewicht van de patiënt om zeker te zijn dat de patiënt de juiste dosis Zolgensma® krijgt.

Op het moment van de infusie

- Controleer of de algemene gezondheidstoestand van de patiënt geschikt is voor de infusie (bijv. genezing van infecties) of als uitstel gerechtvaardigd is.
- Controleer of 24 uur vóór de infusie van Zolgensma® een behandeling met corticosteroiden is gestart en geef de volgende dosis om de immunrespons te temperen.
- Controleer het gewicht van de patiënt om zeker te zijn dat de patiënt de juiste dosis Zolgensma® krijgt.
- Zolgensma® infusie wordt slechts éénmalig gegeven.
- De juiste hantering bij het gebruik van Zolgensma® moet worden gevolgd.

Na de infusie

- De behandeling met corticosteroiden moet ten minste 2 maanden worden voortgezet; en mag niet worden afgebouwd totdat ASAT /ALAT-niveaus onder 2 x ULN zijn, en alle andere beoordelingen, bijv. bilirubine, zich weer binnen het normale bereik bevinden.
- Nauwgezette en regelmatige controle (klinisch en bloedonderzoek) van het beloop van de patiënt moet gedurende ten minste 3 maanden plaatsvinden.
- Onmiddellijke beoordeling van patiënten met verslechterende leverfunctietests en/of tekenen of symptomen van acute ziekte.
- Als patiënten niet adequaat reageren op corticosteroiden, of als leverschade wordt vermoed, moet de zorgverlener onmiddellijk een kindergastroenteroloog of -hepatoloog raadplegen.
- Als TMA wordt vermoed, moet een specialist worden geraadpleegd.

Raadpleeg de SKP voor volledige veiligheid- en voorschrijfindicaties, aangezien er nog andere waarschuwingen en voorzorgen voor Zolgensma® zijn.



Melden van bijwerkingen

De gezondheidszorgbeoefenaars worden verzocht de bijwerkingen en ook mogelijke medicatiefouten, geassocieerd met het gebruik van Zolgensma® te melden aan de afdeling Vigilantie van het FAGG. Het melden kan bij voorkeur online gebeuren via www.eenbijwerkingmelden.be of anders via de papieren meldingsfiche die op verzoek verkrijgbaar is bij het FAGG of die kan worden afgedrukt op de website van het FAGG, www.fagg.be. De ingevulde papieren meldingsfiche kan per post verzonden worden naar het adres FAGG – afdeling Vigilantie – Galileelaan 5/03– 1210 Brussel, per fax op het nummer 02/528.40.01, of per mail naar: adr@fagg-afmps.be

Bijwerkingen dienen eveneens te worden gemeld aan Novartis per fax op het nummer 02/246.17.00 of per e-mail op: drug.safety_belgium@novartis.com of via de groene lijn: 0800/94.368.

Voor de gerapporteerde bijwerkingen zie SKP rubriek 4.8 Bijwerkingen.

RMA materiaal bijbestellen

Het RMA materiaal in zijn volledige vorm kan teruggevonden worden op de webpagina van het FAGG met betrekking tot additionele risicobeperkende activiteiten:

www.fagg.be ➔ Zoek informatie over een vergund geneesmiddel
➔ Zolgensma®

Indien u nog vragen hebt of graag extra informatie wil over het gebruik van ZOLGENSMA® dan kunt u contact opnemen met Novartis Pharma N.V.

- per email via belgium.infogate@novartis.com
- op het telefoonnummer 0800 94 368.