

Indlægsseddel: Information til brugeren

Zolgensma® 2 x 10¹³ vektorgenomer/ml infusionsvæske, opløsning onasemnogene abeparvovec

▼ Dette lægemiddel er underlagt supplerende overvågning. Dermed kan der hurtigt tilvejebringes nye oplysninger om sikkerheden. Du kan hjælpe ved at indberette alle de bivirkninger, dit barn får. Se sidst i afsnit 4, hvordan du indberetter bivirkninger.

Læs denne indlægsseddel grundigt, inden dit barn får dette lægemiddel, da den indeholder vigtige oplysninger.

- Gem indlægssedlen. Du kan få brug for at læse den igen.
- Spørg barnets læge eller sygeplejersken, hvis der er mere, du vil vide.
- Kontakt barnets læge eller sygeplejersken, hvis dit barn får bivirkninger, herunder bivirkninger, som ikke er nævnt i denne indlægsseddel. Se afsnit 4.

Se den nyeste indlægsseddel på www.indlaegsseddel.dk.

Oversigt over indlægssedlen

1. Virkning og anvendelse
2. Det skal du vide, før dit barn begynder at få Zolgensma
3. Sådan gives Zolgensma
4. Bivirkninger
5. Opbevaring
6. Pakningsstørrelser og yderligere oplysninger

1. Virkning og anvendelse

Hvad er Zolgensma?

Zolgensma er en type medicin, der kaldes for ”genterapi”. Den indeholder det aktive stof onasemnogene abeparvovec, som indeholder humant genetisk materiale.

Hvad bruges Zolgensma til?

Zolgensma bruges til at behandle spædbørn og småbørn, som har en sjælden, alvorlig, nedarvet tilstand, der kaldes for ”spinal muskelatrofi” (SMA).

Hvordan virker Zolgensma?

SMA opstår, når der mangler eller findes en unormal version af et gen, som skal bruges til at producere et vigtigt protein, der hedder ‘survival motor neuron’ (SMN)-protein. Mangel på SMN-protein medfører, at nerver, som kontrollerer musklerne (motorneuroner), dør. Dette medfører, at musklerne gradvist svækkes og svinder ind med tab af bevægelseevnen til sidst.

Zolgensma virker ved at tilføre en fuldt funktionsdygtig kopi af SMN-genet, som derefter hjælper kroppen med at producere tilstrækkeligt SMN-protein. Genet tilføres i de celler, hvor der er behov for det, med anvendelse af en modificeret virus, som ikke forårsager sygdom hos mennesker.

2. Det skal du vide, før dit barn begynder at få Zolgensma

Brug IKKE Zolgensma

Dit barn **må IKKE få** Zolgensma, hvis det er allergisk over for onasemnogene abeparvovec eller et af de øvrige indholdsstoffer i dette lægemiddel (angivet i afsnit 6).

Advarsler og forsigtighedsregler

Dit barns læge vil udføre antistoftests inden behandlingen for at kunne beslutte, om dette lægemiddel er egnet til barnet.

Leverproblemer

Fortæl det til barnets læge eller sygeplejerske, inden barnet får dette lægemiddel, hvis barnet har haft problemer med sin lever. Zolgensma kan medføre en immunreaktion, som kan føre til en stigning i enzymer, der produceres af leveren.

Dit barn vil få taget en blodprøve for at kontrollere leverfunktionen, inden behandling med Zolgensma går i gang. Barnet vil også regelmæssigt få taget blodprøver i mindst 3 måneder efter behandlingen for at holde øje med eventuelle stigninger i leverenzymen.

Luftvejsinfektion

Hvis dit barn får en luftvejsinfektion (fx en forkølelse, influenza eller bronchiolitis) før eller efter behandling med Zolgensma, kan det muligvis føre til andre og mere alvorlige komplikationer. De tegn på en eventuel virusinfektion i luftvejene, du skal holde øje med hos barnet, er blandt andet hoste, hvæsende vejrtrækning, nysen, næse, der løber, ømhed i halsen eller feber. Fortæl det straks til barnets læge, hvis du bemærker et eller flere af disse symptomer hos barnet.

Regelmæssige blodprøver

Zolgensma kan sænke antallet af blodplader (thrombocytopeni). De mulige tegn på et lavt antal blodplader, du skal holde øje med, efter at dit barn har fået Zolgensma, er blandt andet unormale blå mærker eller blødning (se afsnit 4 for mere information).

Zolgensma kan medføre forhøjede niveauer af et hjert/kar specifikt protein, der kaldes for ”troponin-I”, og som kan være tegn på beskadigelse af hjertet. De mulige tegn, du skal holde øje med, efter at dit barn har fået Zolgensma, er blandt andet en svagt grå/blå hudfarve, vejrtrækningsbesvær, hævede lemmer eller udspilet mave (se afsnit 4 for mere information).

Dit barn vil få taget en blodprøve for at kontrollere niveauet af blodplader og troponin-I, inden behandling med Zolgensma går i gang. Barnet vil også regelmæssigt få taget blodprøver i et stykke tid efter behandlingen for at holde øje med eventuelle ændringer i niveauerne af blodplader og troponin-I.

Brug af anden medicin sammen med Zolgensma

Fortæl det altid til dit barns læge eller sygeplejersken, hvis barnet tager anden medicin, for nylig har taget anden medicin eller planlægger at tage anden medicin.

Prednisolon

Dit barn vil også få et lægemiddel, der hedder prednisolon, i et stykke tid (se også afsnit 3) som en del af behandlingen med Zolgensma. Dette er en type medicin, der kaldes for et ’kortikosteroid’, og som vil afhjælpe en eventuel stigning i leverenzymen, som barnet kan udvikle efter at have fået Zolgensma. Barnets læge vil beslutte, om barnet skal have prednisolon eller et andet kortikosteroid.

Vaccinationer

Da kortikosteroider kan påvirke kroppens immunsystem, **vil dit barns læge muligvis beslutte at udsætte nogle vaccinationer** af barnet, mens det får behandling med prednisolon/kortikosteroider. Spørg barnets læge eller sygeplejersken, hvis der er noget, du er i tvivl om.

Zolgensma indeholder natrium

Dette lægemiddel indeholder 4,6 mg natrium pr. ml, svarende til 0,23% af den af WHO anbefalede maksimale daglige indtagelse af 2 g natrium for en voksen. Hvert 5,5 ml hætteglas indeholder 25,3 mg natrium, og hvert 8,3 ml hætteglas indeholder 38,2 mg natrium.

Ekstra information til forældre/omsorgsperson

Fremskreden SMA

Zolgensma kan redde levedygtige motorneuroner, men redder ikke døde motorneuroner. Børn med mindre alvorlige symptomer på SMA (for eksempel mangel på reflekser eller nedsat muskeltonus) kan have nok levende motorneuroner til at opnå en betydelig fordel af behandling med Zolgensma.

Zolgensma virker muligvis ikke så godt hos børn med svær muskelsvækkelse, lammelse eller vejrtrækningsproblemer, eller som ikke kan synke, eller hos børn, der har en markant misdannelse (for eksempel hjertefejl), herunder patienter med SMA type 0, da disse symptomer indebærer begrænset potentiel forbedring efter behandling med Zolgensma. Dit barns læge vil beslutte, om barnet skal have dette lægemiddel.

Grundig hygiejne

Det aktive stof i Zolgensma kan midlertidigt udskilles gennem affaldsstoffer fra barnets krop. Forældre og omsorgspersoner skal følge god håndhygiejne i op til 1 måned, efter at barnet har fået Zolgensma. Brug beskyttelseshandsker ved direkte kontakt med barnets kropsvæsker eller affaldsstoffer, og vask hænderne grundigt bagefter med sæbe og rindende varmt vand eller spritbaseret hånddesinfektionsmiddel. Der bør bruges dobbelte poser til brugte bleer og andet affald. Engangsbleer kan kasseres sammen med husholdningsaffaldet.

Du skal følge disse instruktioner i mindst 1 måned efter barnets behandling med Zolgensma. Spørg barnets læge eller sygeplejersken, hvis der er noget, du er i tvivl om.

3. Sådan gives Zolgensma

Zolgensma vil blive givet til dit barn af en læge eller sygeplejerske, som er uddannet i behandlingen af barnets tilstand.

Barnets læge vil beregne, hvilken mængde Zolgensma barnet skal have, afhængigt af barnets vægt. Dosen måles i enheder, som kaldes for vektorgenomer.

Den anbefalede dosis er $1,1 \times 10^{14}$ vektorgenomer pr. kilo legemsvægt. Barnet vil få dosen intravenøst (i en blodåre) som en enkelt infusion (drop) i et tidsrum på cirka 1 time.

Dit barn vil kun få Zolgensma ÉN gang.

Dit barn vil også få behandling med prednisolon (eller et andet kortikosteroid) gennem munden, der starter 24 timer inden behandlingen med Zolgensma. Dosis af kortikosteroidet vil også afhænge af barnets vægt. Den anbefalede dosis prednisolon er 1 mg pr. kilo legemsvægt pr. dag. Barnets læge vil beregne den samlede dosis, som skal gives.

Dit barn vil få behandling med et kortikosteroid dagligt i cirka 2 måneder efter doseringen med Zolgensma, eller indtil barnets forhøjede niveau af leverenzymen falder til et acceptabelt niveau. Den dosis kortikosteroid, dit barn får, vil blive reduceret langsomt, indtil behandlingen kan ophøre helt. Barnets læge vil forklare, hvornår og hvordan denne behandling af barnet afbrydes.

Spørg barnets læge eller sygeplejersken, hvis du har spørgsmål vedrørende behandlingen med Zolgensma eller prednisolon.

4. Bivirkninger

Dette lægemiddel kan som alle andre lægemidler give bivirkninger, men ikke alle får bivirkninger.

Søg straks læge, hvis dit barn får en eller flere af følgende alvorlige bivirkninger, som er almindelige (dvs. kan ramme op til 1 ud af 10 patienter):

- blå mærker eller blødning i længere tid end normalt, hvis barnet er kommet til skade. Det kan være tegn på et lavt niveau af blodplader
- svagt grå eller blå hudfarve, vejrtrækningsbesvær (fx hurtig vejrtrækning, stakåndethed), hævede lemmer eller udspilet mave. Dette kan alt sammen være tegn på mulige problemer med hjertet

Fortæl det til barnets læge eller sygeplejersken, hvis dit barn får andre bivirkninger. Disse kan omfatte:

Meget almindelig (kan ramme mere end 1 ud af 10 personer)

- stigninger i leverenzymen (transaminaser), som kan påvises i blodprøver

Almindelig (kan ramme op til 1 ud af 10 personer):

- stigninger i leverenzymen (aspartataminotransferase, alaninaminotransferase), som kan påvises i blodprøver
- opkastning
- feber

Indberetning af bivirkninger

Hvis dit barn oplever bivirkninger, bør du tale med barnets læge eller sygeplejersken. Dette gælder også mulige bivirkninger, som ikke er medtaget i denne indlægsseddel. Du kan også indberette bivirkninger direkte til Lægemiddelstyrelsen via de oplysninger, der fremgår herunder.

Lægemiddelstyrelsen
Axel Heides Gade 1
DK-2300 København S
Websted: www.meldenbivirkning.dk

Ved at indrapportere bivirkninger kan du hjælpe med at fremskaffe mere information om sikkerheden af dette lægemiddel.

5. Opbevaring

Brug ikke lægemidlet efter den udløbsdato, der står på hætteglassets etiket og kartonen efter EXP. Udløbsdatoen er den sidste dag i den nævnte måned.

Hætteglassene vil blive transporteret nedfrosset (ved eller under -60 °C).

Efter modtagelse skal hætteglassene straks sættes i køleskab ved 2 °C til 8 °C i den originale karton. Behandling med Zolgensma skal starte inden for 14 dage efter modtagelse af hætteglassene.

6. Pakningsstørrelser og yderligere oplysninger

Zolgensma indeholder:

- Aktivt stof: onasemnogene abeparvovec. Hvert hætteglas indeholder onasemnogene abeparvovec med en nominel koncentration på 2×10^{13} vg/ml.
- Øvrige indholdsstoffer: tromethamin, magnesiumchlorid, natriumchlorid, poloxamer 188, saltsyre (til justering af pH) og vand til injektionsvæsker.

Udseende og pakningsstørrelser

Zolgensma er en klar til let uigennemsigtig, farveløs til svagt hvid infusionsvæske, opløsning.

Zolgensma fås i hætteglas med en nominel påfyldningsvolumen på enten 5,5 ml eller 8,3 ml. Hvert hætteglas er kun til engangsbrug.

Hver karton indeholder mellem 2 og 14 hætteglas.

Indehaver af markedsføringstilladelsen

Novartis Gene Therapies EU Limited
Block B, The Crescent Building
Northwood, Santry
Dublin 9

D09 C6X8
Irland
Tlf.:+353 (1) 566-2364

Fremstiller

Almac Pharma Services Limited
Finnabair Industrial Estate
Dundalk, Co. Louth
A91 P9KD
Irland

Hvis du ønsker yderligere oplysninger om dette lægemiddel, skal du henvende dig til indehaveren af markedsføringstilladelsen.

Denne indlægsseddel blev senest ændret 10/2020

Dette lægemiddel er godkendt under "betingede omstændigheder". Det betyder, at der forventes yderligere dokumentation for lægemidlet. Det Europæiske Lægemiddelagentur vil mindst en gang om året vurdere nye oplysninger om lægemidlet, og denne indlægsseddel vil om nødvendigt blive ajourført.

Andre informationskilder

Du kan finde yderligere oplysninger om dette lægemiddel på Det Europæiske Lægemiddelagents hjemmeside <http://www.ema.europa.eu>. Der er også links til andre websteder om sjældne sygdomme og om, hvordan de behandles.

Nedenstående oplysninger er til læger og sundhedspersonale:

Vigtigt: Læs produktresuméet inden anvendelse.

Hvert hætteglas er kun til engangsbrug.

Dette lægemiddel indeholder genetisk modificerede organismer. De lokale retningslinjer for håndtering af biologisk affald skal følges.

Håndtering

- Zolgensma skal håndteres aseptisk under sterile betingelser.
- Personligt beskyttelsesudstyr (der skal omfatte handsker, beskyttelsesbriller, laboratoriekittel og ærmer) skal anvendes under håndtering og administration af Zolgensma. Personale med rifter eller snitsår på huden må ikke arbejde med Zolgensma.
- Alle spild af Zolgensma skal aftørres med absorberende gaze, og spildområdet skal desinficeres med en blegemiddelopløsning efterfulgt af alkoholvædede servietter. Alle rengøringsmaterialer skal dobbeltemballeres og bortskaffes i overensstemmelse med lokale retningslinjer for håndtering af biologisk affald.
- Alle materialer, der kan have været i kontakt med Zolgensma (fx hætteglas, alle injektionsmaterialer, herunder sterile afdækninger og kanyler) skal bortskaffes i overensstemmelse med de lokale retningslinjer for håndtering af biologisk affald.

Utilsigtet eksponering

Utilsigtet eksponering for onasemnogene abeparvovec skal undgås.

Hvis produktet kommer på huden, skal det berørte område rengøres grundigt med sæbe og vand i mindst 15 minutter. Hvis produktet kommer i øjnene, skal det berørte område skylles grundigt med vand i mindst 15 minutter.

Opbevaring

Hætteglassene vil blive transporteret nedfrosset (ved eller under -60 °C). Efter modtagelse skal hætteglassene straks sættes i køleskab ved 2 °C til 8 °C i den originale karton. Behandling med Zolgensma skal starte inden for 14 dage efter modtagelse af hætteglassene. Datoen for modtagelse skal markeres på den originale karton, inden produktet sættes i køleskab.

Klargøring

Hætteglassene skal optøs inden brug:

- Pakninger med op til 9 hætteglas skal optøs i cirka 12 timer i køleskab (2°C til 8°C) eller 4 timer ved stuetemperatur (20°C til 25°C).
- Pakninger med op til 14 hætteglas skal optøs i cirka 16 timer i køleskab (2°C til 8°C) eller 6 timer ved stuetemperatur (20°C til 25°C).

Zolgensma må ikke anvendes, medmindre det er optøet.

Dette lægemiddel må ikke genfryses, efter at det er optøet.

Zolgensma svinges forsigtigt rundt efter optøning. Må IKKE omrystes.

Brug ikke dette lægemiddel, hvis du kan se partikler eller misfarvning, når det frosne produkt er optøet og inden administration.

Efter optøning skal Zolgensma administreres hurtigst muligt.

Administration

Zolgensma må kun gives ÉN gang til patienterne.

Dosis af Zolgensma og det præcise antal hætteglas, der skal bruges til hver patient, beregnes efter patientens vægt (se produktresuméets punkt 4.2 og 6.5).

Træk hele dosismængden ind i injektionssprøjten, når Zolgensma skal administreres. Når dosismængden er trukket op i injektionssprøjten, skal den administreres inden for 8 timer. Fjern eventuel luft i injektionssprøjten, og klargør infusionsposen inden administration til patienten via den intravenøse infusion gennem et venekateter. Indføring af et sekundært kateter ('reservekateter') anbefales i tilfælde af, at der opstår blokering i det primære kateter.

Zolgensma skal administreres med sprøjtepumpen som en enkelt langsomintravenøs infusion i cirka 60 minutter. Det må kun administreres som en intravenøs infusion. Det må ikke administreres som en hurtig intravenøs injektion eller bolus. Slangen skal skylles med saltvand, når infusionen er færdig.

Bortskaffelse

Ikke anvendt lægemiddel samt affald heraf skal bortskaffes i henhold til lokale retningslinjer for håndtering af biologisk affald.

Der kan forekomme midlertidig udskillelse af Zolgensma, fortrinsvis gennem kroppens affaldsstoffer. Omsorgspersoner og patientens familie skal informeres om følgende instruktioner til korrekt håndtering af patientens kropsvæsker og affaldsstoffer:

- God håndhygiejne (brug af beskyttelseshandsker og grundig vask af hænderne med sæbe og rindende varmt vand eller spritbaseret hånddesinfektionsmiddel bagefter) er påkrævet i tilfælde af direkte kontakt med patientens kropsvæsker og affaldsstoffer. Dette gør sig gældende i mindst 1 måned efter behandling med Zolgensma.
- Engangsbleer skal forsegles i dobbelte plastposer og kan kasseres sammen med husholdningsaffaldet.