

Průvodce pro pečovatele o léčbě přípravkem ZOLGENSMA®

Váš ošetřující lékař Vám dal k dispozici tohoto průvodce, protože byl Vašemu dítěti předepsán přípravek Zolgensma®. Cílem tohoto průvodce je poskytnout praktické informace a podpořit tak komunikaci s ošetřujícím lékařem. Měla by být čtena společně s příbalovou informací pro pacienta.

▼ Tento přípravek podléhá dalšímu sledování. To umožní rychlé získání nových informací o bezpečnosti. Můžete přispět tím, že nahlásíte jakékoli nežádoucí účinky, které se u Vašeho dítěte vyskytnou.

Přehled nežádoucích účinků v této příručce není úplný a je třeba se seznámit i s možnými dalšími nežádoucími účinky, jejichž výčet naleznete v Příbalové Informaci pro pacienta. Příbalová informace pro pacienta (PIL) je distribuována v každém balení léčivého přípravku, společně s touto příručkou a lze jí také vyhledat na <http://www.olecich.cz> po zadání názvu léčivého přípravku pod zkratkou PIL.

Verze: 02

Schváleno SÚKL: 09/2023

Pokud se u Vašeho dítěte vyskytne kterýkoli z nežádoucích účinků, sdělte to ošetřujícímu lékaři nebo lékárníkovi. Stejně postupujte i v případě jakýchkoli nežádoucích účinků, které nejsou uvedeny v příbalové informaci. Nežádoucí účinky můžete hlásit také přímo prostřednictvím národního systému hlášení nežádoucích účinků.

Podrobnosti o hlášení najdete na: <http://www.olecich.cz/hlaseni-pro-sukl/nahlasit-nezadouci-ucinek>.

Adresa pro zasílání je Státní ústav pro kontrolu léčiv, odbor farmakovigilance, Šrobárova 48, Praha 10, 100 41, email: farmakovigilance@sukl.cz.

Tato informace může být také hlášena společnosti

Novartis na adresu:

Novartis s.r.o., Gemini, budova B

Na Pankráci 1724/129, 140 00 Praha 4

tel: +420 225 775 111

fax: +420 225 775 445

email: safety.cz@novartis.com

Tento průvodce byl připraven tak, aby Vám poskytl užitečné informace o:

- **Přípravku Zolgensma a jeho účincích**
- **Důležitých faktech týkajících se bezpečnosti a možných nežádoucích účinků přípravku Zolgensma**
- **Jednotlivých krocích při léčbě přípravkem Zolgensma**

Máte-li jakékoli dotazy nebo obavy týkající se přípravku Zolgensma, poraďte se s Vaším ošetřujícím lékařem nebo zdravotní sestrou.

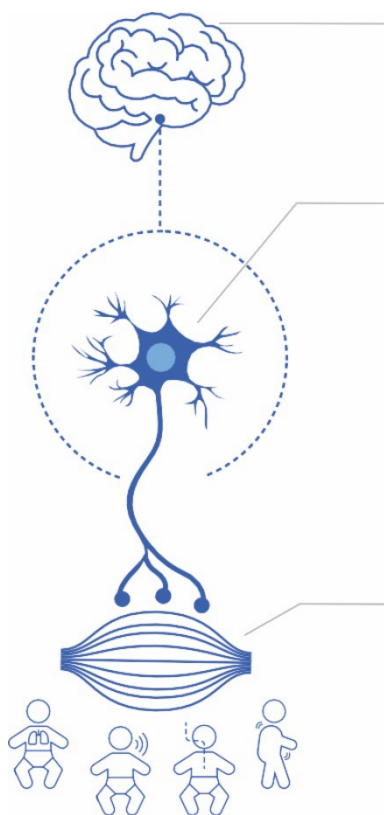
Co obsahuje tento průvodce?

O SMA	5
<ul style="list-style-type: none">• Co je SMA?• Co způsobuje SMA?• U koho vzniká SMA?• Závažnost a příznaky SMA	
O přípravku Zolgensma	13
Informace o přípravku a jeho účincích	
Významná rizika léčby	15
Důležité informace týkající se bezpečnosti a možných nežádoucích účinků	
Léčba přípravkem Zolgensma	20
<ul style="list-style-type: none">• Před léčbou• Den léčby• Po léčbě	
Kdy vyhledat lékařskou pomoc	30
Kontaktní údaje lékaře	
Místní asociace	
Běžná slova, kterým je třeba porozumět	31
Užitečné definice pojmů použitých v tomto průvodci	
Poznámky	34

Co je SMA?

Spinální svalová atrofie (SMA) je vzácné, závažné a dědičné onemocnění. SMA vznikne v případě, když chybí nebo se vyskytne nefungující verze genu potřebného k výrobě nezbytné bílkoviny (proteinu), která se nazývá „nezbytná pro přežití motorických neuronů“ (SMN, survival motor neuron protein). Nedostatek proteinu SMN způsobí odumření nervů, které ovládají svaly (motorické neurony). To má za následek ochabnutí svalů a jejich úbytek, s možnou ztrátou schopností pohybu a potížemi s dalšími funkcemi, jako je dýchání, polykání, příjem potravy a mluvení.

Zdraví lidé



Mozek

Je nejvyšším koordinačním centrem a vznikají v něm signály pro pohyb svalů.

Motorické neurony

Tyto speciální nervy přenášejí signály z mozku do svalů a ovládají tak pohyb. Existují dva typy motorických neuronů: horní motorické neurony, které přenášejí signály z mozku do míchy, a dolní motorické neurony, které přenášejí signály z míchy do svalů.

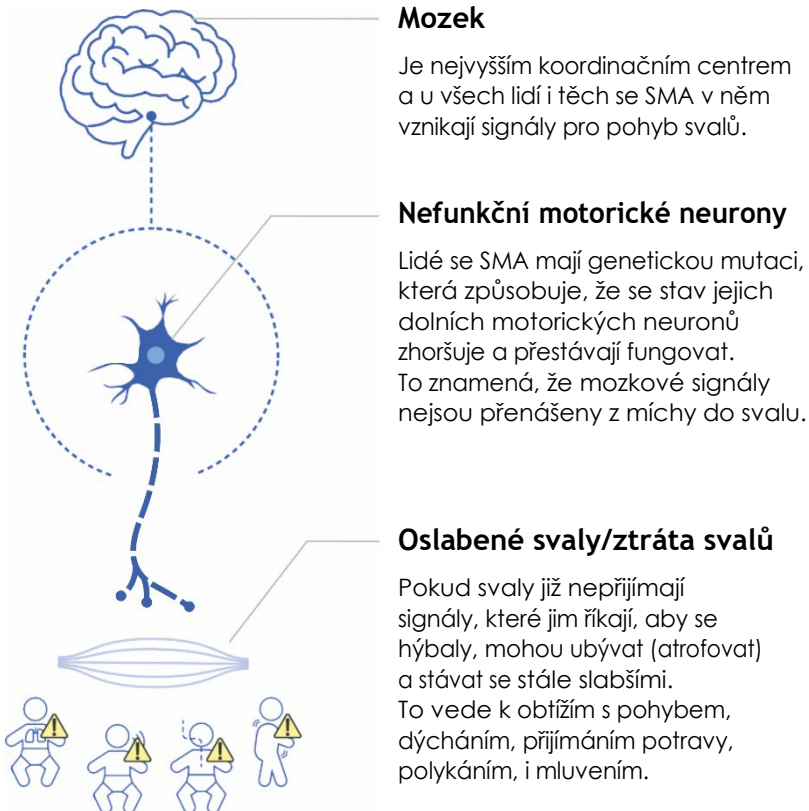
Svaly

Svaly se napínají nebo uvolňují v reakci na signály přenášené motorickými neurony. To způsobuje pohyb těla a je to nezbytné pro funkce, jako je dýchání, přijímání potravy včetně polykání, a mluvení.



Přestože SMA ovlivňuje pouze dolní motorické neurony, schopnost myslet, učit se a navazovat lidské vztahy se nemění.

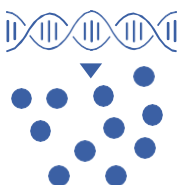
Lidé s onemocněním SMA



Co způsobuje SMA?

Geny pro protein nezbytný pro přežití motorického neuronu (SMN)

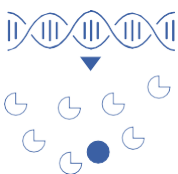
U zdravých lidí je tělo schopné produkovat protein SMN z genů nazývaných geny SMN. Existují dva typy genu **SMN**, **SMN1** a **SMN2**:



Funkční protein SMN

Gen pro přežití motorického neuronu 1 (SMN1)

Gen *SMN1* je hlavní gen a produkuje většinu proteinu SMN, který motorické neurony potřebují, aby správně fungovaly. U lidí s SMA je gen *SMN1* buď vadný (mutovaný), nebo zcela chybí.



Nedostatečné množství funkčního proteinu SMN

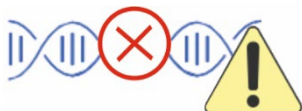
Gen pro přežití motorického neuronu 2 (SMN2)

Ačkoliv gen *SMN2* také produkuje protein SMN, vytváří několik verzí tohoto proteinu a pouze malé množství funguje správně („funkční protein SMN“). Gen *SMN2* proto funguje jako „záložní zdroj“ pro podporu produkce proteinu SMN, ale není schopen sám produkovat dostatek proteinu SMN aby byly motorické neurony zdravé a správně fungovaly.

- funkční SMN protein
- nefunkční SMN protein

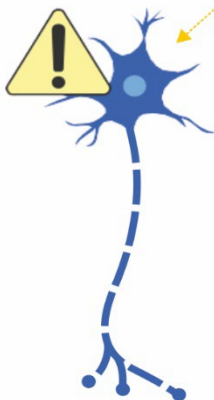
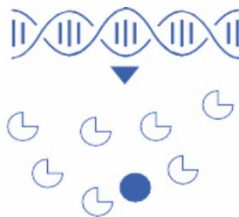
SMN1
Primární gen

Chybějící nebo vadný gen *SMN1*,
který vede k nedostatečným
hladinám proteinu SMN



SMN2
Záložní gen

SMN2 záložní gen produkuje
pouze ~ 10 % funkčního
proteinu SMN



Dýchání



Mluvení

Oslabené svalstvo



Polykání/Jezení



Pohyb

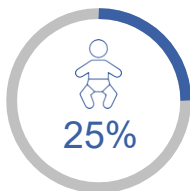
U koho vzniká SMA?

Jelikož je SMA způsobena vadným (mutovaným) nebo chybějícím genem, řadí se mezi genetická onemocnění a obvykle se dědí

Dítě zdědí dvě kopie každého genu, jednu od své matky a jednu od svého otce. Aby se dítě narodilo se SMA, musí zdědit vadný gen po své matce i otci. Pokud je u SMA vadná jen jedna kopie genu (od matky nebo od otce), zdravý gen druhého rodiče může zajistit, aby se produkovalo dostatek proteinu SMN pro správné fungování motorických neuronů. Lidé, kteří mají jednu zdravou kopii genu *SMN1* a jednu vadnou kopii, jsou označováni za „nositele a obvykle nevykazují žádné příznaky. Většina nositelů si není vědoma, že nesou vadný gen, dokud se jim nenarodí dítě s SMA.



Přibližně **1 z 50** lidí je zdravým nositelem SMA, i když se to může mírně lišit v závislosti na zeměpisné oblasti, ve které žijete.



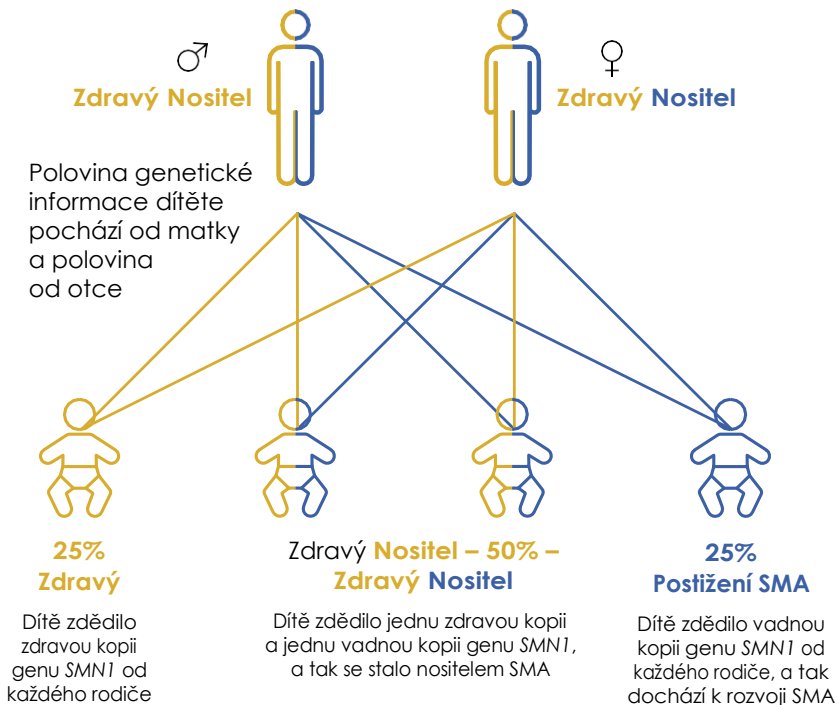
Šance, že dva zdraví nositelé budou mít dítě s SMA, je **25 %** v případě každého těhotenství.



SMA je vzácné onemocnění postihující přibližně **1 z 10 000** novorozenců a může postihnout člověka bez ohledu na rasu nebo pohlaví.

Jak se dědí SMA?

SMA se obvykle projeví, pokud dítě zdědí dvě kopie vadného genu, jednu od své matky a druhou od svého otce, nebo gen od obou rodičů chybí. Tento typ dědičnosti se označuje jako „recesivní“ a znamená, že oba rodiče musí být nositeli poruchy, aby existovala 25% pravděpodobnost, že nemoc bude zděděna.



Všechna budoucí těhotenství budou mít stejnou 25% pravděpodobnost pro narození dítěte postiženého SMA, proto je důležité při rozhodování o rozšíření rodiny prodiskutovat s lékařským týmem své možnosti.

Závažnost a příznaky SMA

Možná uslyšíte, že se lékařský tým, který má na starost Vaše dítě, odkazuje na „motorické milníky“, což jsou určité schopnosti nebo dovednosti, které pomáhají posoudit SMA a její postup. Motorické milníky relevantní pro děti s SMA zahrnují jejich schopnost:



Zvednout hlavu



Uchopit něco do ruky



Lézt



Sedět



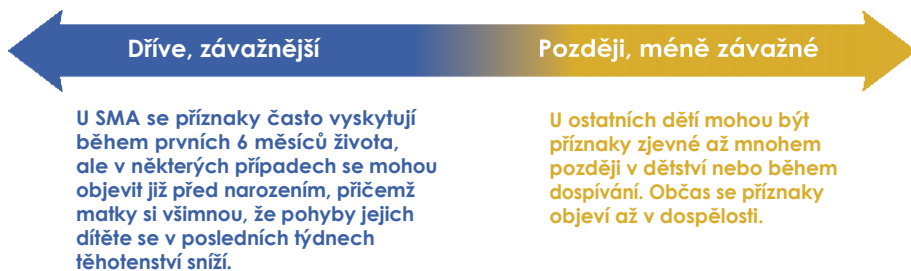
Přetáčet se



Stát a chodit

Tyto milníky, spolu s věkem, ve kterém příznaky začínají, slouží ke stanovení závažnosti SMA.

Čím dříve se projeví příznaky SMA, tím je pravděpodobnější, že onemocnění bude mít závažnější průběh. Protože děti mohou při narození nebo i později v dětství vypadat jako zdravé, diagnostika dětských forem SMA je velmi obtížná.



Bez zásahu nebo léčby mají děti s těžšími formami SMA zkrácenou délku života. Včasným lékařským zásahem a léčbou lze zhoršování stavu zpomalit a děti jsou často schopny dosáhnout milníků, které se při přirozeném průběhu nemoci dosahují jen zřídka.

SMA je onemocnění s celou řadou příznaků, které se mohou lišit svou závažností

		Typy SMA	Příznaky
<p>Věk při nástupu příznaků</p>	<p>Narození ↔</p> <p>přibližně 6 měsíců</p>	<p>Snížený pohyb plodu (SMA typ 0)</p>	<p>U nejzávažnější formy SMA se příznaky obvykle začínají projevovat před narozením. Pohyby dítěte se mohou během těhotenství snížit.</p>
		<p>Neschopnost samostatně sedět (SMA typ 1)</p>	<p>Příznaky se obvykle projeví do 6 měsíců věku a zahrnují:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Špatné ovládání hlavy • Slabé nohy a paže • Potíže při dýchání a polykání • Slabý kašel a pláč
		<p>Schopnost sedět a stát, neschopnost samostatně chodit (SMA typ 2)</p>	<p>Příznaky se obvykle objevují ve věku 6–18 měsíců a zahrnují:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Slabé nohy a paže • Problém posadit se bez pomoci • Zpomalený motorický vývoj • Potíže s polykáním a kašlem • Třes • Bolest a potíže s pohybem v kloubech • Zkroucení nebo zakřivení páteře • V některých případech potíže s dýcháním
		<p>Samostatná chůze (SMA typ 3)</p>	<p>Příznaky se obvykle projevují od raného dětství (> 18 měsíců) do pozdního dospívání. Lidé s touto formou SMA mohou špatně udržovat rovnováhu, mít problémy postavit se a také při chůzi nebo zdolávání schodů.</p>
	<p>18 měsíců ↔</p> <p>18 let</p>	<p>Samostatná chůze do dospělosti (SMA typ 4)</p>	<p>V nejmírnější formě SMA se příznaky projevují až v dospělosti. Lidé s touto formou SMA obvykle trpí mírnou svalovou slabostí, bez dýchacích potíží.</p>

O přípravku Zolgensma

Přípravek Zolgensma se používá k léčbě kojenců a malých dětí, které mají vzácný, závažný a dědičný stav „spinální svalové atrofie“ (SMA)

Jak přípravek Zolgensma funguje?

Přípravek Zolgensma nemění DNA vašeho dítěte, ale nahrazuje funkci vadného nebo chybějícího genu *SMN*. Přípravek funguje tak, že dodává plně funkční kopii genu *SMN*, která pak pomáhá tělu produkovat dostatek proteinu *SMN*. Kopie genu *SMN* je přenesena do buněk, které ho potřebují pomocí nosiče pro gen, který se nazývá „vektor“.

Vektor, který dodává gen *SMN*, je vyroben z upraveného viru nazývaného adeno-asociovaný virus 9 neboli AAV9. Tento typ upraveného viru nezpůsobuje u lidí onemocnění. Při jeho tvorbě se odstraní většina virové DNA a místo ní se dovnitř viru vloží nový gen *SMN*.



1



Přípravek Zolgensma obsahuje plně funkční kopii genu SMN

2

Gen SMN je umístěn uvnitř modifikovaného viru (AAV9), který u lidí nezpůsobuje onemocnění



AAV9



DNA viru je odstraněna



Zolgensma

3



Přípravek Zolgensma se podává Vašemu dítěti intravenózně (do žíly)

4

Modifikovaný virus v přípravku Zolgensma prochází tělem a dodává gen SMN do buněk, které ho potřebují



5



Poskytnutím plně funkční kopie genu SMN pomáhá přípravek Zolgensma tělu produkovat dostatek proteinu SMN

Přípravek Zolgensma v pokročilém stádiu SMA

Přípravek Zolgensma může zachránit motorické neurony, které jsou životaschopné, nedokáže však pomoci již odumřelým motorickým neuronům. Děti s méně závažnými příznaky SMA mohou mít dostatek živých motorických neuronů a tak jim léčba přípravkem Zolgensma může významně prospět. Přípravek Zolgensma nemusí tak dobře účinkovat u dětí se závažnými příznaky.

Významná rizika léčby

Podobně jako všechny léky, může mít i Zolgensma nežádoucí účinky, které se ale nemusí vyskytnout u každého.

**POKUD SE U VAŠEHO DÍTĚTE PROJEVÍ
JAKÉKOLI NEŽÁDOUCÍ ÚČINKY,
IHNEDE KONTAKTUJTE OŠETŘUJÍCÍHO
LÉKAŘE, NEBO ZDRAVOTNÍ SESTRU.**



Důležité bezpečnostní informace a kdy vyhledat lékařskou pomoc

Před zahájením léčby přípravkem Zolgensma budou Vašemu dítěti provedeny krevní testy ke kontrole funkce jater, ledvin, množství krevních buněk (včetně červených krvinek a krevních destiček) a hladiny troponinu-I. Po dobu nejméně 3 měsíců po léčbě bude Vaše dítě pravidelně podstupovat odběry krve pro nezbytnou kontrolu funkcí jater a ke sledování změn hladiny krevních destiček a troponinu-I. V závislosti na hodnotách a dalších příznacích a symptomech mohou být nutná další vyšetření. O délce trvání vyšetření rozhodne lékař vašeho dítěte.



Jaterní problémy

Pokud Vaše dítě má nebo mělo nějaké problémy s játry, informujte o tom lékařský tým dříve, než mu bude tento přípravek podán. V některých případech může přípravek Zolgensma vyvolat imunitní reakci, která by mohla vést ke zvýšení enzymů (bílkovin nacházejících se v těle) produkovaných játry nebo k poškození jater.

Poškození jater může vést k závažným následkům, včetně selhání jater a smrti. Možné příznaky, které je potřeba sledovat po podání tohoto léku Vašemu dítěti, zahrnují zvracení, žloutenku (zežloutnutí kůže nebo bělma očí) nebo sníženou bdělost. Pokud si všimnete, že se u Vašeho dítěte objeví jakékoli příznaky naznačující poškození jater, ihned to sdělte lékaři Vašeho dítěte.



Porucha srážení krve

Přípravek Zolgensma zvyšuje riziko vzniku krevních sráženin v malých cévách (trombotická mikroangiopatie), a to obvykle během prvních 2 týdnů po infuzi. Tyto krevní sráženiny mohou poškodit ledviny Vašeho dítěte. Ihned informujte ošetřujícího lékaře, pokud si všimnete známek a příznaků, jako je vysoká náchylnost ke vzniku modřin, epileptické záchvaty (křeče) nebo snížený výdej moči.

Těmto příznakům a projevům je třeba věnovat mimořádně velkou pozornost, protože abnormální srážení krve (trombotická mikroangiopatie) je závažné a může být život ohrožující, pokud není okamžitě léčeno.



Nízký počet krevních destiček

Přípravek Zolgensma může snižovat počet krevních destiček (trombocytopenie), obvykle během prvních 2 týdnů po infuzi, což může také způsobit poruchy srážení krve. Možné příznaky nízkého počtu krevních destiček, které je potřeba sledovat poté, zahrnují snadný vznik modřin nebo krvácení.

Obraťte se okamžitě na svého lékaře, pokud si všimnete příznaků, jako jsou modřiny nebo krvácení po poranění trávající delší dobu než obvykle.



Troponin-I

Přípravek Zolgensma může zvýšit hladinu srdečního proteinu zvaného troponin-I, což může ukazovat na poškození srdce. Proto musíte věnovat pozornost možným známkám srdečních potíží u Vašeho dítěte, jako je světle šedá nebo modrá barva kůže nebo rtů, potíže s dýcháním (např. zrychlené dýchání, dušnost), otoky rukou a nohou nebo břicha.



Kortikosteroidy

Vaše dítě bude také užívat kortikosteroidy (prednisolon nebo podobnou látku) po určitou dobu před a po léčbě přípravkem Zolgensma. Délka podávání kortikosteroidů Vašemu dítěti po léčbě se bude lišit v závislosti na hodnotách jaterních enzymů a dalších příznacích a symptomech a rozhodne o ní lékař Vašeho dítěte. Tato doba bude trvat minimálně 2 měsíce ale může být prodloužena až po dobu jednoho roku nebo i déle.

Kortikosteroidy pomohou zvládnout imunitní reakci na přípravek Zolgensma, která by mohla vést ke zvýšení hladin jaterních enzymů a poškození jater. Dávku kortikosteroidů, kterou Vaše dítě dostane, vypočítá ošetřující lékař v závislosti na aktuální hmotnosti dítěte.

Nikdy nepřerušujte podávání kortikosteroidů bez předchozího souhlasu lékaře a pečlivě dodržujte dávkování lékařem předepsané. Přerušování podávání, nebo nevhodné snížení dávky mohou zásadně ohrozit zdraví Vašeho dítěte.

V případě zvracení nebo pokud není možno z jakýchkoli důvodů podat dávku kortikosteroidů, ale také před zahájením léčby jinými léky, je důležité poradit se s lékařem, zdravotní sestrou nebo lékárníkem Vašeho dítěte nebo jiným zdravotnickým pracovníkem.



Infekce

Vaše dítě může mít kvůli kortikosteroidům oslabený imunitní systém, což znamená, že infekce, které u zdravých lidí obvykle vyvolají jen slabé nebo žádné příznaky, mohou u Vašeho dítěte způsobit závažné onemocnění. Pokud u Vašeho dítěte dojde k infekci (např. nachlazení, chřipka nebo bronchiolitida - zánět dolních úseků dýchacích cest) **před** nebo **po** léčbě přípravkem Zolgensma, mohlo by to vést k jiným závažným komplikacím, které mohou vyžadovat naléhavou lékařskou péči i hospitalizaci.

Pokud si všimnete, že se u Vašeho dítěte **před** léčbou přípravkem Zolgensma nebo **po** ní objeví jakékoli příznaky svědčící o infekci, jako např:

- Kašel
- Sípání
- Kýchání
- Rýma
- Bolest v krku
- Horečka
- Průjem
- Zvracení
- Bolest břicha

Ohned informujte ošetřujícího lékaře Vašeho dítěte.

Dostatečně dlouho dobu před léčbou přípravkem Zolgensma a po ní je důležité předcházet infekcím tím, že se vyhnete situacím, které mohou zvýšit riziko nákazy Vašeho dítěte.

Zejména:

- Vy a všichni ostatní blízcí s Vaším dítětem můžete přispět k prevenci infekce dodržováním správné hygieny rukou, správné etikety při kašlání/kýchání a omezením možných kontaktů.
- Vyhýbejte se dětským kolektivům, hřištím, prostředkům hromadné dopravy.
- Omezte nebo úplně zrušte rodinné sešlosti.

Očkování



Vzhledem k tomu, že kortikosteroidy mohou ovlivnit imunitní systém těla, může se Váš ošetřující lékař rozhodnout během léčby kortikosteroidy odložit jakékoliv očkování.

Vaše dítě by nemělo být očkováno bez konzultace s ošetřujícím lékařem.

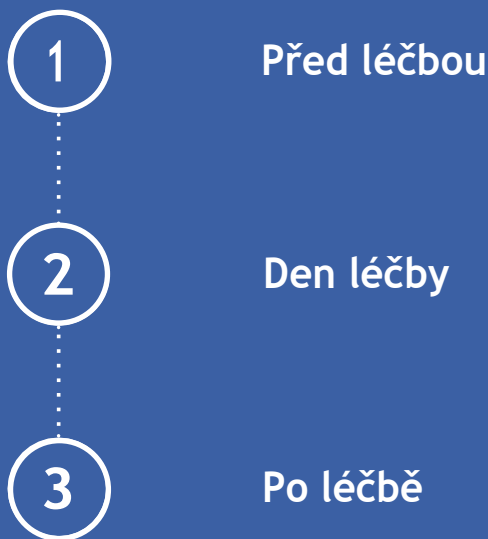
VYHLEDEJTE IHLED LÉKAŘSKOU POMOC, POKUD SE U VAŠEHO DÍTĚTE PROJEVÍ JAKÉKOLI Z NÁSLEDUJÍCÍCH ZNÁMEK NEBO PŘÍZNAKŮ:



- **Modřiny** nebo **krvácení** trvající déle než obvykle, pokud bylo Vaše dítě zraněno - mohou být příznaky nízkého počtu krevních destiček (trombocytopenie).
- **Větší náchylnost k modřinám, epileptické záchvaty (křeče),** nebo **snížený výdej moči**
- možné příznaky abnormálního srážení krve v malých cévách (trombotická mikroangiopatie). Těmto příznakům je třeba věnovat mimořádně velkou pozornost, protože abnormální srážení krve může být život ohrožující, pokud není léčeno.
- **Zvracení, žloutenka** (zežloutnutí kůže nebo očního bělma), nebo **snížená bdělost** - mohou být příznaky možných problémů s játry (včetně jaterního selhání).
- **Světle šedá nebo modrá barva kůže, potíže s dýcháním** (např. zrychlené dýchání, dušnost), **otok rukou a nohou,** nebo **břicha** - to mohou být příznaky možných problémů se srdcem.
- **Kašel, sípání, kýchání, rýma, bolest v krku nebo horečka,** **zvracení nebo průjem a bolest břicha** – možné příznaky infekce (např. nachlazení, chřipka nebo bronchiolitida).

Léčba přípravkem Zolgensma

Kroky popsané na následujících stránkách Vám a Vaší rodině pomohou porozumět, co můžete dále očekávat



1. Před léčbou

Aby bylo možné rozhodnout, zda je přípravek Zolgensma pro Vaše dítě vhodný, provede lékař vašeho dítěte před léčbou testy na protilátky.



AAV9 test na protilátky

Protilátky jsou produkovány imunitním systémem těla, aby jej chránily před onemocněním. Přítomnost určitých protilátek, nazývaných protilátky AAV9, může způsobit imunitní reakci Vašeho dítěte na přípravek Zolgensma. Aby bylo možné se rozhodnout, zda je přípravek vhodný pro Vaše dítě, provede ošetřující lékař dítěti před léčbou odběr krve na přítomnost protilátek.

Vaše dítě může mít zvýšené hladiny protilátek AAV9. Pokud se jedná o novorozené dítě, může se jednat o protilátky, které byly přeneseny z matky na dítě během těhotenství, a tyto zvýšené hodnoty se po narození často časem snižují. Pokud má Vaše dítě po prvním testu zvýšenou hladinu protilátek AAV9, bude po určité době opět testováno. Máte-li jakékoli dotazy, zeptejte se ošetřujícího lékaře.



Krevní testy

Před léčbou přípravkem Zolgensma absolvuje Vaše dítě odběry krve ke kontrole a stanovení základních hladin pro:

- Funkci jater
- Funkci ledvin
- Množství krevních buněk (včetně červených krvinek a krevních destiček)
- Hladinu Troponin-I.

Tato měření pomohou ošetřujícímu lékaři porovnat a kontrolovat dané hladiny u Vašeho dítěte po infuzi.



Kortikosteroidy

24 hodin před léčbou přípravkem Zolgensma budou Vašemu dítěti podány kortikosteroidy (prednisolon nebo podobná látka), které mají snížit riziko vzrůstu hladin jaterních enzymů.

Dávku kortikosteroidů určí ošetřující lékař v závislosti na hmotnosti dítěte. Aby bylo dodrženo správné dávkování kortikosteroidů, informujte o případném zvracení před léčbou přípravkem Zolgensma ošetřujícího lékaře nebo zdravotní sestru.



Infekce

Je důležité, abyste ihned informovali ošetřujícího lékaře nebo zdravotní sestru, pokud se u Vašeho dítěte objeví příznaky svědčící o infekci před nebo po podání přípravku Zolgensma. Pokud se u Vašeho dítěte před léčbou objeví jakékoli příznaky a symptomy naznačující infekci, může být potřebné infuzi odložit, dokud infekce nevymizí, jelikož by to mohlo způsobit závažné zdravotní komplikace.



Celkový zdravotní stav

Před léčbou je důležité, aby bylo Vaše dítě ve vhodném celkovém zdravotním stavu, jinak může být nutné léčbu odložit. To zahrnuje dostatečné zavodnění (příjem tekutin), dobrou výživu a nepřítomnost infekčního onemocnění. Pokud máte před léčbou jakékoli pochybnosti týkající se celkového zdravotního stavu Vašeho dítěte, neváhejte se obrátit na svého dětského nebo ošetřujícího lékaře.

2. Den léčby

Lékařský tým, který pečuje o Vaše dítě zajistí, že budete přesně vědět, co můžete v den léčby očekávat a jak se připravit.



Prednisolon

První dávka kortikosteroidů (prednisolon nebo podobná látka) bude podána Vašemu dítěti 24 hodin před podáním infuze.

V den léčby dostane Vaše dítě druhou dávku kortikosteroidů ke spolknutí.

Dávkovací režim kortikosteroidů je důležitý pro zvládnutí možného zvýšení hladiny jaterních enzymů. Aby bylo dodrženo správné dávkování kortikosteroidů, informujte o případném zvracení po podání kortikosteroidů ošetřujícího lékaře nebo zdravotní sestru.



Přípravek Zolgensma bude Vašemu dítěti podán POUZE jednou.



Infuze přípravku Zolgensma

Přípravek Zolgensma bude Vašemu dítěti podán jednou intravenózní infuzí (do žíly). To obnáší zavedení kanyly (tenké plastové trubičky) do jedné z žil Vašeho dítěte. Bude zavedena i záložní kanyla pro případ jakýchkoli problémů s hlavním kanylou. Infuze bude podávána ošetřujícím lékařem nebo zdravotní sestrou proškolenou v oblasti léčby SMA a bude trvat asi 60 minut.

Dávku přípravku Zolgensma, kterou Vaše dítě dostane, určí ošetřující lékař v závislosti na aktuální hmotnosti dítěte.

3. Po léčbě

O délce hospitalizace po léčbě přípravkem Zolgensma rozhodne Váš ošetřující dětský lékař. Pokud máte jakékoli dotazy, neváhejte se obrátit na lékařský tým, který pečuje o Vaše dítě.



Možné nežádoucí účinky

Podobně jako všechny léky, může mít i tento lék nežádoucí účinky, které se ale nemusí vyskytnout u každého.

**VYHLEDEJTE OKAMŽITOU LÉKAŘSKOU POMOC
POKUD SE U VAŠEHO DÍTĚTE PROJEVÍ
JAKÝKOLIV Z NÁSLEDUJÍCÍCH PŘÍZNAKŮ**



- **Modřiny** nebo **krvácení** trvající déle než obvykle, pokud bylo Vaše dítě zraněno - mohou být příznaky nízkého počtu krevních destiček (trombocytopenie).
- **Větší náchylnost k modřinám, epileptické záchvaty (křeče)** nebo **snížený výdej moči** - možné projevy nadměrného srážení krve v malých cévách (trombotická mikroangiopatie). Těmto příznakům je třeba věnovat mimořádně velkou pozornost, protože tato porucha může být život ohrožující, pokud není včas léčena.
- **Zvracení, žloutenka** (zežloutnutí kůže nebo očního bělma) nebo nadměrná únava a spavost - mohou být příznaky možných problémů s játry (včetně jaterního selhání).
- **Světle šedá nebo modrá barva rtů nebo kůže, potíže s dýcháním** (např. zrychlené nebo namáhavé dýchání), **otoky rukou a nohou nebo břicha** - mohou být příznaky možných problémů se srdcem.
- **Kašel, sípání, kýchání, rýma, bolest v krku, nebo horečka, zvracení nebo průjem** - možné příznaky infekce (např. nachlazení, chřipka nebo bronchiolitida).

Ihned kontaktujte ošetřujícího lékaře nebo zdravotní sestru, která pečuje o Vaše dítě, pokud se objeví jakékoli další nežádoucí účinky. Tyto mohou zahrnovat:



Kortikosteroidy

Užívání kortikoidů denně po dobu 2 měsíců po podání přípravku Zolgensma je nezbytné pro úspěšnou léčbu. Toto období může být prodlouženo, pokud hodnoty jaterních enzymů Vašeho dítěte neklesají dostatečně rychle, a to až do okamžiku, dokud neklesnou na přijatelnou úroveň. Dávka kortikosteroidů podávaná Vašemu dítěti bude během této doby pomalu snižována, dokud nebude možné léčbu úplně ukončit.

Lékařský tým, který pečuje o Vaše dítě, rozhodne a vysvětlí Vám, kdy a jak ukončí léčbu. Aby bylo dodrženo správné dávkování kortikosteroidů, informujte o případném zvracení po podání kortikosteroidů nebo o jiném vynechání dávky (z jakéhokoliv důvodu) ošetřujícího lékaře nebo zdravotní sestru.

Máte-li jakékoli dotazy týkající se kortikosteroidů, obraťte se na lékaře, Nikdy nepřerušujte podávání kortikosteroidů bez předchozího souhlasu lékaře a pečlivě dodržujte dávkování lékařem předepsané. Přerušení podávání, nebo nevhodné snížení dávky mohou zásadně ohrozit zdraví Vašeho dítěte.



Pravidelné krevní testy

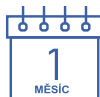
V týdnech následujících po léčbě bude vaše dítě pravidelně absolvovat odběry krve na vyšetření

- Funkce jater - tyto testy se budou pravidelně provádět nejméně 3 měsíce po léčbě s cílem sledování možného zvýšení hladin jaterních enzymů. Pokud se jaterní funkce Vašeho dítěte po léčbě přípravkem Zolgensma zhorší nebo se u něj objeví jakékoli příznaky onemocnění, bude neprodleně vyšetřeno a pečlivě sledováno lékařem.
- Počet krevních destiček a hladinu troponinu-I – test bude probíhat po určitou dobu po léčbě s cílem sledovat změny v krevních destičkách a hladinách troponinu-I.

V závislosti na výsledcích těchto krevních testů a na dalších příznacích a symptomech může být nutné provést další vyšetření. Je důležité pečlivě dodržovat plán odběrů krve a neprodleně hlásit lékařskému týmu Vašeho dítěte všechny příznaky, které se u něj po léčbě projeví.

Hygiena v souvislosti s biologickým odpadem dítěte (např. použité pleny)

Část léčivé látky v přípravku Zolgensma se může po léčbě z těla Vašeho dítěte vylučovat tělními tekutinami. Vy a další lidé, kteří o dítě pečují, byste měli dodržovat správnou hygienu rukou, jak je uvedeno níže, po dobu alespoň 1 měsíce po infuzi.



Noste ochranné rukavice při přímém kontaktu s tělními tekutinami (močí), výkaly nebo jinými výměšky Vašeho dítěte.



Poté si důkladně umyjte ruce mýdlem pod teplou tekoucí vodou nebo dezinfekčním prostředkem na ruce na bázi alkoholu.



Pro likvidaci znečištěných plen a jiného odpadu použijte dva plastové sáčky. Jednorázové pleny mohou být i nadále likvidovány společně s domácím odpadem.

Máte-li jakékoli dotazy ohledně likvidace biologických odpadních látek dítěte, poraďte se s dětským lékařem nebo zdravotní sestrou.

3. Po léčbě (pokračování)

Podpůrná péče

Přesto, že přípravek Zolgensma dodává plně funkční kopii genu *SMN*, Vaše dítě má stále onemocnění SMA.

Mezi další podpůrné terapie používané k péči o pacienty s SMA patří:



Ortopedická péče



Fyzioterapie



Podpora výživy,
příjmu potravy a pití



Podpora dýchání,
například pomocí
spánkové masky



Prevence infekcí
dýchacích cest
(např. prevence chřipky
a zápalu plic očkováním)



Odstranění
sekretů
z dýchacích
cest

**Tým lékařů s Vámi bude spolupracovat na
zajištění potřeb podpůrné péče pro Vaše dítě**



Kdy vyhledat lékařskou pomoc

Místní asociace

Po celém světě existuje řada sdružení pacientů, která Vám a Vašemu dítěti s SMA mohou pomoci. Mohou vám poskytnout informace o SMA, nejnovějším výzkumu a podpoře komunity. Obráťte se na lékaře nebo zdravotnický tým svého dítěte, který vám může poskytnout informace o skupinách, které jsou pro vás bližší.

Česká republika - SMÁci

V České republice působí patientská organizace SMÁci, z. s., jejíž cílem je poskytovat pacientům s SMA a jejich rodinám informace a podporu potřebnou ke zlepšení kvality jejich života.

Sídlo: Nová 181, Zbuzany, 252 25

Web: www.smaci.cz

E-mail: info@smaci.cz

Běžná slova, kterým je třeba porozumět

Adeno-asociovaný virus 9 (AAV9)

Adeno-asociovaný virus 9 (AAV9) je typ viru. AAV9 lze modifikovat tak, aby nezpůsobil onemocnění u lidí. V přípravku Zolgensma je modifikovaný AAV9 vektorem používaným k dodání plně funkční kopie genu SMN.

Protilátky

Protilátky produkuje imunitní systém těla, aby ho chránil před nemocemi. Každý typ protilátky je jedinečný a chrání tělo před specifickým typem onemocnění.

Atrofie

Atrofie znamená ubývání nebo zmenšování. Například sval, který ubývá, se nazývá atrofovaný sval.

Kortikosteroidy

Kortikosteroidy potlačují imunitní reakci. Při léčbě přípravkem Zolgensma se podávají, aby snížily nárůst hladin jaterních enzymů a tak se zabránilo poškození jater.

Deoxyribonukleová kyselina (DNA)

DNA nebo deoxyribonukleová kyselina je nositelem dědičné informace.

Krevní destičky

Typ krevních tělísek, které se nacházejí v krvi a jejichž prostřednictvím dochází ke srážení krve.

Gen

Úsek DNA, podle kterého je buňka schopná vytvořit určitou bílkovinu. Geny jsou v buňkách ve dvou kopiích; jedna kopie genu je zděděná od matky a druhá od otce.

Genová terapie

Genová terapie je způsob léčby, nebo prevence progresivního onemocnění pomocí genů. Existují různé typy genové terapie, které fungují různými způsoby. Mezi ně patří nahrazení chybějících nebo oprava genů, které nefungují správně a to přidáním nového genu, nebo zastavením genu, který produkuje příliš mnoho bílkovin, které se pak stanou pro tělo toxickými.

Genetické onemocnění

Zdravotní stav způsobený vadným nebo chybějícím genem, nebo geny. Genetické onemocnění se dědí. SMA je příkladem geneticky podmíněného onemocnění.

Intravenózní infúze

Infúze do žíly pomocí kanyly (plastová trubička), který se zavádí do žíly pomocí jehly.

Motorické neurony

Tyto speciální nervové buňky přenášejí signály z mozku do svalů a ovládají tak pohyb těla.

Proteiny

Proteiny jsou důležité molekuly zapojené do téměř všech tělesných funkcí. Proteiny pomáhají budovat tělesné buňky a zároveň pomáhají s jejich transportem, produkcí důležitých látek, opravou a přežitím.

Nežádoucí účinek

Nežádoucím účinkem je vedlejší, nezamýšlený a obvykle nepříznivý účinek léku.

Podrobné informace o tomto léčivém přípravku jsou k dispozici na webových stránkách Evropské agentury pro léčivé přípravky:

www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/zolgensma#product-information-section

Užitečné kontakty

Tato příručka informace byla vytvořena společností Novartis Gene Therapies. Poskytnuté informace slouží pouze pro vzdělávací účely a nemají nahradit diskusi s ošetřujícím lékařem nebo ošetrovatelským týmem. Informace se týkají spinální svalové atrofie a jsou zamýšleny jako obecný přehled.

CZ2309088129/09/2023 | Datum přípravy: Září 2023

© 2023 Novartis Europharm Limited.

Poznámky
