



▼ Tähän lääkevalmisteeseen kohdistuu lisäseuranta.

# Huoltajan opas ZOLGENSMA<sup>®</sup> - hoitoon

Lapsesi lääkäri on antanut sinulle tämän oppaan, koska lapsellesi on määrätty Zolgensma<sup>®</sup>-hoito.

Tämä opas tarjoaa sinulle käytännöllistä tietoa tueksi keskusteluihin lääkärin kanssa. Sen lisäksi sinun tulisi tutustua valmisteen mukana tulleeseen pakkausselosteeseen.

Zolgensma-valmisteeseen kohdistuu lisäseuranta, jotta sen mahdolliset uudet haittavaikutukset voidaan tunnistaa nopeasti. Jos lapsellesi ilmaantuu mitä tahansa haittavaikutuksia, käänny lääkärin, sairaanhoitajan, farmaseutin tai muun terveydenhuollon ammattilaisen puoleen. Tämä koskee myös sellaisia mahdollisia haittavaikutuksia, joita ei ole mainittu tässä oppaassa tai lapsesi lääkepakkauksen mukana tulevassa pakkausselosteessa.

**Jos sinulla on mitä tahansa kysyttävää tai huolenaiheita Zolgensma-hoidosta, käänny lapsesi lääkärin, sairaanhoitajan, farmaseutin tai muun terveydenhuollon ammattilaisen puoleen.**

Osa riskienhallintasuunnitelmaa RMP v.2.2. Fimean hyväksymispäivämäärä 31.5.2023

FI2307032454



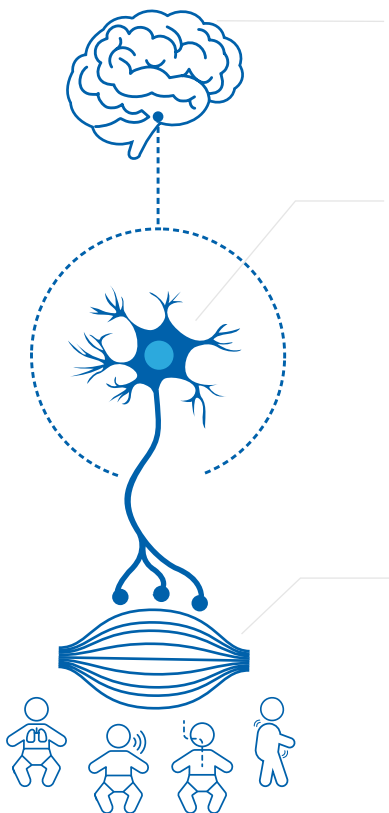
# Mitä opas sisältää?

<b>Tietoa SMA:sta</b>	4
• Mikä SMA on?	4
• Mikä aiheuttaa SMA:n?	6
• Kuka sairastuu SMA:han?	8
• SMA:n vaikeusaste ja oireet	10
<b>Tietoa Zolgensma-hoidosta</b>	12
Lisätietoa hoidosta ja siitä, miten se toimii	
<b>Zolgensma-hoidon riskien ymmärtäminen</b>	14
Tärkeää Zolgensma-hoidon turvallisuuteen ja mahdollisiin haittavaikutuksiin liittyvää tietoa	
<b>Zolgensma-hoito</b>	19
• Ennen hoitoa	20
• Hoitopäivänä	22
• Hoidon jälkeen	23
<b>Milloin tulee ottaa yhteyttä lääkäriin</b>	29
<b>Lääkärin yhteystiedot</b>	30
<b>Paikalliset yhdistykset</b>	31
<b>Tärkeitä sanoja</b>	32
Hyödyllisiä määritelmiä tässä oppaassa käytetyille sanoille	
<b>Muistiinpanoja</b>	34

## Mikä SMA on?

**Spinaalinen lihasatrofia (SMA)** on harvinainen ja vakava perinnöllinen tila. Spinaaliseen lihasatrofiaan (SMA) sairastuu, jos elintärkeän 'Survival Motor Neuron' (SMN) -nimisen proteiinin tuotantoa ohjaava geeni on virheellinen tai se puuttuu. SMN-proteiinin puute aikaansaa lihaksia kontrolloivien hermosolujen (liikehermosolujen) tuhoutumisen. Tämä aiheuttaa lihasheikkoutta ja lihasten surkastumista ja lopulta liikuntakyvyn menetyksen sekä muun muassa hengitys-, nielemis-, syömis- ja puhevaikeuksia.

### Terveet ihmiset



#### Aivot

Terveillä ihmisillä aivot lähettävät lihaksiin signaaleja, jotka saavat lihakset supistumaan.

#### Liikehermosolut

Liikehermot kuljettavat signaaleja aivoista lihaksiin ohjaten liikkeitä. Liikehermosoluja on kahdenlaisia. Ylemmät liikehermosolut kuljettavat signaaleja aivoista aivorunkoon ja selkäyttimeen. Alemmat liikehermosolut kuljettavat signaaleja ylemmistä liikehermosoluista lihaksiin.

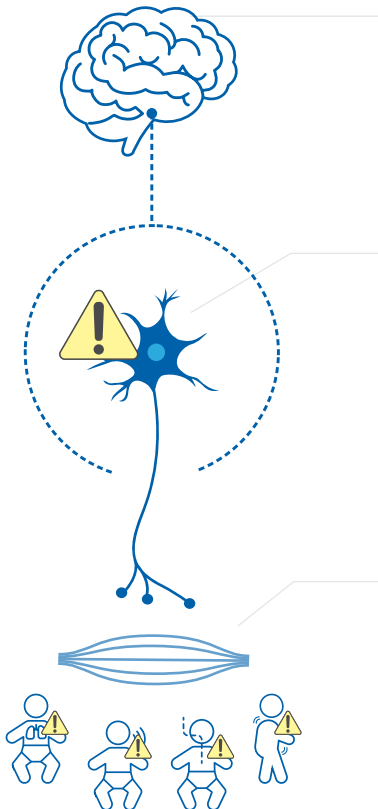
#### Lihakset

Lihakset supistuvat tai rentoutuvat liikehermosolujen signaalien seurauksena. Tämä saa aikaan kehon liikkeitä, ja on olennaista sellaisten toimintojen kuten hengittämisen, nielemisen, syömis- ja puhumisen kannalta.



Vaikka SMA vaikuttaa alempiin liikehermosoluihin, SMA-potilaiden kyky ajatella, oppia ja muodostaa ihmissuhteita pysyy muuttumattomana.

## SMA:ta sairastavat ihmiset



### Aivot

SMA:ta sairastavilla ihmisillä aivot lähettävät lihaksiin signaaleja, joiden tarkoituksena on saada lihakset supistumaan.

### Toimimattomat liikehermosolut

SMA:ta sairastavilla ihmisillä on geenimutaatio, joka aiheuttaa alempien liikehermosolujen tuhoutumista ja niiden toiminnan lakkaamista. Silloin aivojen lähettämät signaalit eivät kulkeudu selkäytimestä lihaksiin.

### Surkastuneet/heikenneet lihakset

Elleivät lihakset saa enää signaaleja, jotka antavat niille käskyn liikkua, ne voivat surkastua (atrofia) ja tulla yhä heikommiksi. Tämä johtaa vaikeuksiin liikkumisessa, hengittämisessä, nielemisessä, syömisessä ja puhumisessa.

# Mikä aiheuttaa SMA:n?

## Terveet ihmiset

### Survival Motor Neuron (SMN) -proteiini

Jotta liikehermosolut kykenisivät selviytymään ja toimimaan kunnolla, elimistö tarvitsee muun muassa Survival Motor Neuron (SMN) -nimistä proteiinia. Ilman SMN-proteiinia liikehermosolut lakkaavat toimimasta ja kuolevat. Lihakset heikkenevät ja menettävät lopulta liikuntakykynsä, joka taas johtaa vaikeuksiin liikkumisessa, hengittämisessä, nielemisessä, syömisessä ja puhumisessa.

### Survival Motor Neuron (SMN) -geenit

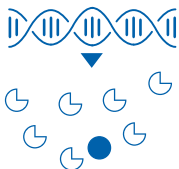
Terveillä ihmisillä elimistö kykenee tuottamaan SMN-proteiinia SMN-geenin ohjaamana. **SMN-geenejä** on kahdenlaisia, **SMN1** ja **SMN2**.



Toimiva SMN-proteiini

### Survival motor neuron 1 (SMN1)

*SMN1*-geeni on ensisijainen geeni ja se tuottaa suurimman osan SMN-proteiinista, jota liikehermosolut tarvitsevat toimiakseen kunnolla.



Riittämätön määrä toimivaa SMN-proteiinia

### Survival motor neuron 2 (SMN2)

Myös *SMN2*-geeni tuottaa SMN-proteiinia ja tekee useita versioita tästä proteiinista, mutta vain pieni osa siitä toimii kunnolla ('toimiva SMN-proteiini'). *SMN2*-geeni toimii siten 'varalla' tukeakseen SMN-proteiinin tuotantoa, mutta ei kykene tuottamaan riittävästi SMN-proteiinia yksin.

## SMA:ta sairastavat ihmiset

Ihmisillä, joilla on SMA, *SMN1*-geeni on joko viallinen (mutatoitunut) tai se puuttuu kokonaan.

*SMN2*-geeni ei pysty tuottamaan riittävästi toimivaa SMN-proteiinia korvataksaan *SMN1*-geenin puutteen. Tämän seurauksena SMA:ta sairastavilla potilailla ei ole riittävästi SMN-proteiinin tuotantoa pitämään liikehermosolut terveinä ja toimivina.

### *SMN1* Ensisijainen geeni

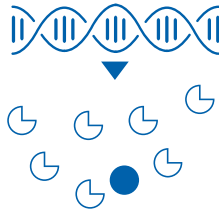
Puuttuva tai viallinen *SMN1*-geeni, joka johtaa liian alhaiseen SMN-proteiinin tasoon



SMN-proteiinia ei tuoteta

### *SMN2* Varageeni

*SMN2* varageeni tuottaa vain ~10 % toimivaa SMN-proteiinia



Riittämätön määrä toimivaa SMN-proteiinia

Toimimaton liikehermosolu



Heikentynyt lihas



Hengittäminen



Puhuminen



Nieleminen



Liikkuminen

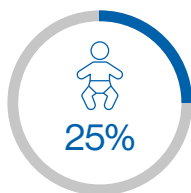
## Kuka sairastuu SMA:han?

**Koska SMA:n aiheuttaa viallinen (mutatoitunut) tai puuttuva geeni, sitä pidetään geneettisenä sairautena ja se on yleensä perinnöllinen.**

Lapsi perii kaksi kopiota kustakin geenistä, yhden äidiltään ja yhden isältään. Lapsi sairastuu SMA:han, jos hän saa viallisen geenin sekä äidiltään että isältään. Jos vain toinen geneistä (äidiltä tai isältä saatu) on viallinen, toisen vanhemman terve geeni pitää huolen siitä, että elimistö tuottaa SMN-proteiinia riittävästi ja liikehermosolut toimivat kunnolla. Ihmisiä, joilla on yksi terve kopio *SMN1*-geenistä ja yksi viallinen kopio, sanotaan ”terveiksi kantajiksi” ja heillä ei yleensä esiinny oireita. Useimmat kantajat eivät tiedä, että he kantavat viallista geeniä ennen kuin SMA:ta sairastava lapsi syntyy.



Noin **yksi 50** ihmisestä on terve SMA-kantaja, vaikka määrä vaihtelee hieman riippuen maantieteellisestä alueesta.



Jos molemmat vanhemmat ovat terveitä SMA-kantajia, on kussakin raskaudessa **25 %:n** todennäköisyys, että lapsi sairastuu SMA:han.

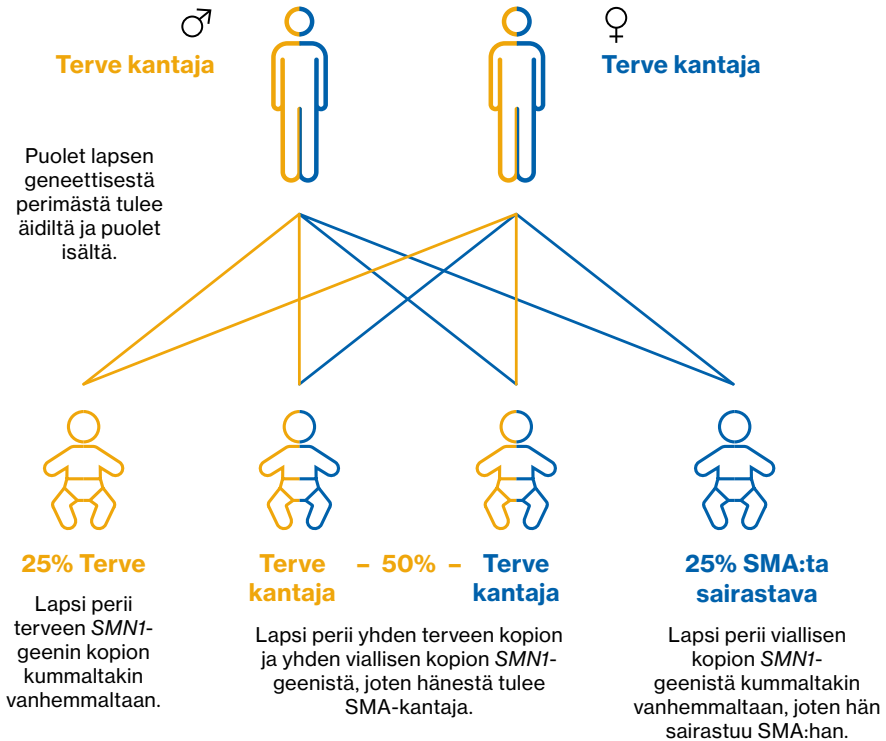


SMA on harvinainen sairaus, joka on noin **yhdellä 10 000:sta** vastasyntyneestä, ja sitä voi esiintyä millä tahansa etnisellä ryhmällä tai sukupuolella.



# Miten SMA periytyy?

Lapsi sairastuu SMA:han tyypillisesti silloin, kun hän perii kaksi viallista tai puuttuvaa *SMN1*-geeniä, yhden äidiltään ja yhden isältään. Tämänkaltaista periytymistä kutsutaan 'resessiiviseksi'. Jos molemmat vanhemmat ovat SMA-kantajia, on 25 %:n mahdollisuus, että sairaus periytyy.



■ Terve

■ Terve kantaja

■ SMA:ta sairastava

Kaikissa tulevissa raskauksissa on sama 25 % todennäköisyys, että syntyvällä lapsella on SMA, joten on tärkeää keskustella terveydenhuoltohenkilökunnan kanssa vaihtoehtoista perheenisäystä suunnitellessa.

## SMA:n vaikeusaste ja oireet

Lastasi hoitava henkilökunta saattaa puhua motorisen kehityksen vaiheista, jotka ovat toiminnallisia kykyjä. Niiden avulla arvioidaan SMA:ta ja sen etenemistä. SMA:ta sairastavan lapsen olennaisia motorisen kehityksen vaiheita:



Pään nostaminen



Käsillä tarttuminen



Ryömiminen



Istuminen



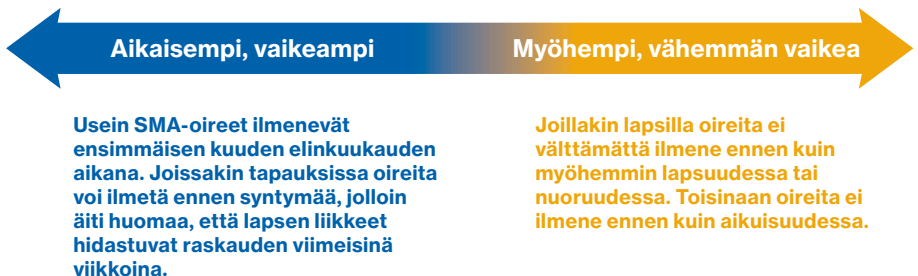
Kierähtäminen



Seisominen ja käveleminen

Näitä kehitysvaiheita sekä ikää, jolloin oireet alkoivat, käytetään määrittelemään SMA:n vaikeusastetta.

Mitä aiemmin SMA-oireita esiintyy, sitä vaikeampi tauti todennäköisesti on. Siksi SMA:n lapsuusajan tyytit voivat olla vaikeita diagnosoida, koska lapsi saattaa vaikuttaa terveeltä syntyessään ja jopa myöhemmin lapsuudessaan.



Ilman interventiota tai hoitoa jäävien SMA:n vaikeaa tyyppiä sairastavien lasten elinajan ennuste on alentunut. Varhaisella lääketieteellisellä interventiolla ja hoidolla voidaan hidastaa sairauden pahenemista, ja usein lapset saavuttavat kehitysvaiheita, joita saavutetaan vain harvoin sairauden luonnollisessa kulussa.

# SMA on sairaus, johon liittyy useita oireita ja niiden vaikeusasteita

		SMA-tyyppi	Oireet
Ikä oireiden aikaassa		<b>Heikentyneet sikiön liikkeet (SMA-tyyppi 0)</b>	SMA:n vaikeimmassa muodossa oireet alkavat kehittyä jo ennen syntymää. Lapsen liikkeet saattavat hidastua raskauden aikana.
		<b>Ei kykene istumaan itsenäisesti (SMA-tyyppi 1)</b>	<b>Oireet kehittyvät yleensä kuuden kuukauden ikään mennessä, ja niitä ovat:</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Heikko pään kontrolli</li> <li>• Heikot ala- ja yläraajat</li> <li>• Vaikeus hengittää ja niellä</li> <li>• Heikko yskä ja itku</li> </ul>
		<b>Kykenee istumaan ja saattaa seistä, ei kykene kävelemään itsenäisesti (SMA-tyyppi 2)</b>	<b>Oireet ilmenevät yleensä 6–18 kuukauden iässä, ja niitä ovat:</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Heikot ala- ja yläraajat</li> <li>• Ponnistelee istuakseen tuetta</li> <li>• Hitaat/puuttuvat motorisen kehityksen vaiheet</li> <li>• Nielemis- ja yskimisvaikeudet</li> <li>• Vapina</li> <li>• Kipu ja vaikeudet nivelten liikuttamisessa</li> <li>• Selkärangan kiertyminen tai kaareutuminen</li> <li>• Joissakin tapauksissa vaikeus hengittää</li> </ul>
		<b>Kävelee itsenäisesti (SMA-tyyppi 3)</b>	Oireet kehittyvät yleensä varhaislapsuudesta (>18 kuukautta) myöhäiseen nuoruusiikään. Tätä SMA-tyyppiä sairastavilla voi olla tasapaino-ongelmia ja ongelmia seisomaan noustessa ja kävelemisessä/portaiden kiipeämisessä.
		<b>Kävelee itsenäisesti aikuisuuteen saakka (SMA-tyyppi 4)</b>	SMA:n lievimmässä muodossa oireet ilmenevät vasta aikuisuudessa. Tätä SMA-tyyppiä sairastavilla on yleensä lievää lihasheikkoutta ilman hengitysvaikeuksia.

## Tietoa Zolgensma-hoidosta

**Zolgensmaa käytetään harvinaista, vakavaa ja perinnöllistä sairautta, 'spinaalista lihasatrofiaa' (SMA), sairastavien vauvojen ja pikkulasten hoitoon.**

### Miten Zolgensma toimii?

Zolgensma ei muuta lapsesi DNA:ta, vaan korvaa virheellisten tai puuttuvien SMN-geenien toimintaa. Zolgensma toimii siirtämällä kehoon täysin toimivan SMN-geenin kopion, joka auttaa tuottamaan riittävästi SMN-proteiinia. SMN-geenin kopio kuljetetaan vektorin eli kuljettimen avulla soluihin, joissa sitä tarvitaan.

Vektori, joka kuljettaa SMN-geeniä, on tehty muokatusta viruksesta, jota kutsutaan adenoassosioituneen viruksen serotyypiksi 9 tai AAV9:ksi. Tämän tyyppinen muokattu virus ei aiheuta sairautta ihmisille. Vektorin valmistamiseksi suurin osa viruksen DNA:sta poistetaan ja uusi SMN-geeni laitetaan sen sisään.



1



Zolgensma sisältää täysin toimivan kopion SMN-geenistä.

2

Zolgensmassa SMN-geeni on viety muokatun viruksen (AAV9) sisään. Muokattu virus ei aiheuta sairautta ihmisille.



AAV9



Viruksen DNA poistetaan



Zolgensma

3



Zolgensma annetaan lapsellesi suonensisäisesti (laskimoon).

4

Zolgensman muokattu virus kulkeutuu läpi elimistön ja kuljettaa SMN-geenin niihin soluihin, joissa sitä tarvitaan.



5



Toimittamalla täysin toimivan kopion SMN-geenistä, Zolgensma auttaa elimistöä tuottamaan tarpeeksi SMN-proteiinia.

### Zolgensma pitkälle edenneessä SMA:ssa

Zolgensma voi pelastaa liikehermosoluja, jotka ovat yhä elossa ja kykeneviä kasvamaan, mutta se ei pelasta kuolleita liikehermosoluja. Lapsilla, joiden SMA-oireet ovat kovin vaikeita, saattaa olla riittävä määrä eläviä liikehermosoluja, jotta he voivat hyötyä Zolgensma-hoidosta. Zolgensma ei välttämättä ole yhtä tehokas lapsilla, joilla on vaikeita oireita.

# Zolgensma-hoidon riskien ymmärtäminen

**Kuten kaikki lääkkeet, Zolgensma voi aiheuttaa haittavaikutuksia. Kaikki eivät kuitenkaan niitä saa.**

**MIKÄLI LAPSELLESI KEHITTYY MIKÄ TAHANSA HAITTAVAIKUTUS, KÄÄNNY PIKAISESTI LAPSESI LÄÄKÄRIN, SAIRAANHOITAJAN, FARMASEUTIN TAI MUUN TERVEYDENHUOLLON AMMATTILAISEN PUOLEEN.**



## Tärkeää turvallisuustietoa. Milloin hakeutua lääkärin hoitoon?



### Maksaongelmat

Ennen kuin lapsellesi annetaan tätä lääkettä, kerro lapsesi lääkärille tai sairaanhoitajalle, jos lapsellasi on tai on aikaisemmin ollut mitä tahansa maksaan liittyviä ongelmia. Zolgensma voi joskus aikaansaada immuunivasteen, joka voi aiheuttaa maksan tuottamien entsyymien (elimistössä olevia proteiineja) arvojen nousua tai maksavaurion.

Maksavauriolla voi olla vakavia seurauksia, kuten maksan vajaatoiminta ja kuolema. Mahdollisiin oireisiin, joita sinun on pidettävä silmällä sen jälkeen, kun lapsellesi on annettu tätä lääkettä kuuluvat oksentelu, keltaisuus (ihon tai silmän valkuaisten kellastuminen) tai alentunut vireystaso. Kerro heti lapsesi lääkärille, jos huomaat lapsellasi jonkin maksavaurioon viittaavan oireen.



### Veren poikkeava hyytyminen

Zolgensma voi suurentaa riskiä sille, että veri hyytyy normaalista poikkeavalla tavalla pienissä verisuonissa (tromboottinen mikroangiopatia) yleensä Zolgensma-hoidon jälkeisten 2 viikon aikana. Nämä verihyytymät voivat vaikuttaa lapsesi munuaisiin. Käännä pikaisesti lääkärin puoleen, jos huomaat lapsellasi herkästi ilmaantuvia mustelmia, kouristuskohtauksia tai virtsan määrä vähentyy.

Näihin oireisiin ja löydöksiin on kiinnitettävä huomiota hyvin tarkasti, sillä veren epänormaali hyytyminen (tromboottinen mikroangiopatia) on vakava ja hoitamattomana mahdollisesti hengenvaarallinen tila.



## Veren matalat trombosyyttiarvot

Zolgensma voi aiheuttaa veren trombosyyttiarvojen pienenemistä (trombosytopenia), mikä tapahtuu yleensä Zolgensma-hoidon jälkeisten 2 viikon aikana. Veren matalan trombosyyttitason mahdollisia merkkejä, joiden suhteen on oltava varuillaan lapsesi saatua Zolgensmaa, ovat normaalista poikkeavat mustelmat tai verenvuoto.

Kerro lapsesi lääkärille, jos huomaat lapsellasi oireita kuten mustelmia tai jos verenvuoto jatkuu tavallista pidempään lapsesi satutettua itsensä.



## Troponiini-I

Zolgensma saattaa aiheuttaa sydämen erään proteiinin, troponiini-I:n pitoisuuden nousua, mikä voi olla osoitus sydänvauriosta. Mahdollisia sydänvaurion merkkejä, joiden suhteen on oltava varuillaan lapsesi saatua Zolgensmaa, ovat kalpean harmaa tai sinertävä ihonväri, hengitysvaikeudet (tihentynyt hengitys, hengenahdistus) sekä käsien ja jalkojen tai vatsan turvotus.

Ennen Zolgensma-hoidon aloittamista lapseltasi otetaan verikokeita maksan ja munuaisten toiminnan sekä verisolujen määrän (mukaan lukien veren punasolut ja trombosyytit) ja troponiini-I:n tason tarkistamiseksi. Verikokeita otetaan säännöllisesti vähintään 3 kuukauden ajan hoidon jälkeen maksan toiminnan, veren trombosyyttiarvojen ja troponiini-I:n pitoisuuden muutosten tarkkailua varten. Veriarvoista ja muista merkeistä ja oireista riippuu, tarvitaanko lisäarviointeja. Lapsesi lääkäri päättää, kuinka kauan verikokeiden ottoa jatketaan.



Zolgensmasta saat lisätietoa lapsellesi tarkoitetun lääkepakkauksen mukana olevasta pakkausselosteesta. Jos sinulla on kysymyksiä, käänny lapsesi lääkärin tai sairaanhoitajan puoleen.

# Zolgensma-hoidon riskien ymmärtäminen (jatkuu)

**Kuten kaikki lääkkeet, Zolgensma voi aiheuttaa haittavaikutuksia. Kaikki eivät kuitenkaan niitä saa.**

**MIKÄLI HUOMAAT LAPSELLASI MINKÄ TAHANSA HAITTAVAIKUTUKSEN, KÄÄNNY PIKAISESTI LAPSESI LÄÄKÄRIN, SAIRAANHOITAJAN, FARMASEUTIN TAI MUUN TERVEYDENHUOLLON AMMATTILAISEN PUOLEEN.**



## Allergiat

Lapsellesi ei saa antaa Zolgensmaa, jos lapsesi on allerginen mille tahansa lääkkeen ainesosalle (lueteltu lapsellesi tarkoitetun lääkepakkauksen mukana tulevassa pakkausselosteessa kohdassa 6).



## Muut lääkevalmisteet ja Zolgensma

Zolgensma annetaan lapsellesi ainoastaan kerran. Kerro lapsesi lääkärille tai sairaanhoitajalle, jos lapsellesi annetaan, on äskettäin annettu tai hänelle saatetaan antaa mitä tahansa muita lääkkeitä.



## Kortikosteroidit

Lapsellesi annetaan myös kortikosteroideja (prednisoloni tai vastaava) jonkin aikaa ennen Zolgensma-hoitoa ja sen jälkeen. Maksaaentsyymiarvot ja muut oireet ja löydökset vaikuttavat siihen, kuinka pitkään kortikosteroidihoitoa jatketaan Zolgensma-hoidon jälkeen. Lapsesi lääkäri päättää aikajakson pituuden, joka on vähintään 2 kuukautta, mutta voi olla jopa yli vuoden.



Kortikosteroidi auttaa mahdollisesti kehittyvän maksaentsyymien tason nousuun, minkä Zolgensma-hoidon aikaansaama immuunivaste voi aiheuttaa. Lääkäri päättää kortikosteroidiannoksen lapsesi painon perusteella.

Kortikosteroidihoidon aikana lapsesi saattaa sairastua infektioautiin tai muuhun tavanomaiseen lastentautiin, jonka hoitoon voidaan tarvita muita lääkkeitä. Ennen muiden lääkkeiden käyttöä, tai jos sinulla on kysyttävää kortikosteroideista, on tärkeää kysyä neuvoa lapsesi lääkäriltä, sairaanhoitajalta, farmaseutilta tai muulta terveydenhuollon ammattilaiselta.



## Infektiot

Lapsesi immuunipuolustus saattaa heikentyä kortikosteroidihoidon vuoksi. Siksi lapsesi voi sairastua vakavasti sellaiseen infektiin, jota vastaan terveet ihmiset yleensä onnistuvat puolustautumaan. Jos lapsellesi kehittyi infektio (esim. vilustuminen, influenssa tai ilmatiehyttulehdus) **ennen** Zolgensma-hoitoa tai hoidon **jälkeen**, se voi johtaa kiireellistä lääkärinhoitoa vaativiin vakavampiin komplikaatioihin.

Kerro välittömästi lapsesi lääkärille, jos havaitset lapsellasi mitä tahansa infektiin viittaavia oireita tai löydöksiä **ennen** Zolgensma-hoitoa tai hoidon **jälkeen**, esimerkiksi:

- Yskä
- Aivastelu
- Kurkkukipu
- Pihisevä hengitys
- Vuotava nenä
- Kuume

On tärkeää ehkäistä infektioita ennen Zolgensma-hoitoa ja sen jälkeen välttämällä tilanteita, jotka saattavat lisätä lapsesi infektioriskiä. Sinä ja muut lapsesi läheiset voivat auttaa ehkäisemään infektioita noudattamalla hyvää käsihygieniaa, hyviä yskimis- ja aivastamiskäytäntöjä ja tapaamisten määrää rajoittamalla.

## Zolgensma-hoidon riskien ymmärtäminen (jatkuu)



### Rokotukset

Koska kortikosteroidit voivat vaikuttaa kehon immuunijärjestelmään, lapsesi lääkäri saattaa päättää viivästyttää joidenkin rokotusten antoa lapsellesi kortikosteroidihoidon aikana. Käännä lapsesi lääkärin tai sairaanhoitajan puoleen, jos sinulla on kysyttävää.

**HAKEUDU VÄLITTÖMÄSTI LÄÄKÄRIN HOITOOON,  
JOS HAVAITSET LAPSELLASI MITÄ TAHANSA  
SEURAAVISTA MERKEISTÄ TAI OIREISTA:**



- **Mustelmat** tai tavallista pidempään jatkuva **verenvuoto**, jos lapsesi on satuttanut itsensä – ne saattavat olla merkkejä veren matalasta trombosyyttitasosta.
- **Mustelmien ilmaantuminen herkästi, kouristuskohtaukset, vähentynyt virtsan määrä** – ne voivat olla merkkejä veren hyytymisestä normaalista poikkeavalla tavalla pienissä verisuonissa (tromboottinen mikroangiopatia). Näihin oireisiin ja löydöksiin on kiinnitettävä huomiota hyvin tarkasti, sillä hoitamattomana veren epänormaali hyytyminen voi olla hengenvaarallinen tila.
- **Oksentelu, keltaisuus** (ihon tai silmän valkuaisten kellastuminen) tai **alentunut vireystaso** – ne saattavat olla merkkejä maksavauriosta (mukaan lukien maksan vajaatoiminta).
- **Kalpean harmaa tai sinertävä ihonväri, hengitysvaikeudet** (esim. tihentynyt hengitys, hengenahdistus) sekä **käsien ja jalkojen tai vatsan turvotus** – ne saattavat olla merkkejä mahdollisista sydänongelmista.
- **Yskä, pihisevä hengitys, aivastelu, vuotava nenä, kurkkukipu tai kuume** – ne saattavat olla merkkejä infektiosta (esim. vilustuminen, influenssa tai ilmatiehyttulehdus).

# Zolgensma-hoito

Seuraavilla sivuilla kerrotaan hoidon eri vaiheista. Nämä tiedot auttavat sinua ja perhettäsi valmistautumaan tulevaan.



# 1. Ennen hoitoa

**Lapsesi lääkäri määrää ennen hoitoa tehtäväksi vasta-ainekokeita. Näitä tarvitaan, kun arvioidaan, onko Zolgensma sopiva lapsellesi.**



## AAV9-vasta-ainemääritys

Kehomme immuunijärjestelmä muodostaa vasta-aineita suojautuakseen sairauksilta. Tiettyjen vasta-aineiden (joita kutsutaan AAV9-vasta-aineiksi) olemassaolo voi aikaansaada lapsellesi immuunivasteen Zolgensmaa kohtaan. Lapsesi lääkäri tekee ennen hoitoa vasta-ainekokeita, joiden avulla päätetään, onko tämä lääke sopiva lapsellesi.

Lapsesi AAV9-vasta-ainetasot voivat olla koholla. Vastasyntyneellä lapsella voi olla äidiltä raskauden aikana siirtyneitä vasta-aineita. Näiden vasta-aineiden määrä laskee usein ajan myötä syntymän jälkeen. Jos lapsesi AAV9-vasta-aineiden määrä on koholla ensimmäisessä testissä, voidaan lapseltasi ottaa uusi testi jonkin ajan kuluttua. Jos sinulla on kysyttävää aiheesta, käännythän lastasi hoitavan lääkärin puoleen.



## Verikokeet

Ennen Zolgensma-hoidon aloittamista lapsellesi tehdään verikokeita lähtötasojen tarkistamiseksi seuraavista:

- Maksan toiminta
- Munuaisten toiminta
- Verisolujen määrä (mukaan lukien veren punasolut ja trombosyytit)
- Troponiini-I-pitoisuus

Nämä mittaukset auttavat lääkäriä seuraamaan lapsesi arvoja Zolgensma-hoidon jälkeen.



## Kortikosteroidit

Lapsellesi annetaan kortikosteroidia (prednisolonia tai jotain muuta kortikosteroidihoitoa) 24 tuntia ennen Zolgensman antamista. Kortikosteroideilla hallitaan mahdollista maksaentsyymiarvojen nousua.

Lapsesi lääkäri päättää kortikosteroidiannoksen lapsesi painon perusteella. Kerrothan lapsesi lääkärille, sairaanhoitajalle tai farmaseutille, jos lapsesi oksentaa ennen Zolgensma-hoitoa, jotta varmistutaan ettei tarvittava ja oikea kortikosteroidiannos jää saamatta.



## Infektiot

On tärkeää, että kerrot heti lapsesi lääkärille, sairaanhoitajalle tai farmaseutille, jos lapsellesi kehittyi infektiota viittaavia oireita **ennen** Zolgensma-hoitoa tai hoidon **jälkeen**. Jos lapsellesi kehittyi oireita ennen Zolgensma-hoitoa, infuusiota voidaan joutua siirtämään, kunnes infektio on hoidettu. Jos lapsellesi kehittyi oireita Zolgensma-hoidon jälkeen, niistä voi seurata kiireellistä lääkärinhoitoa vaativia lääketieteellisiä komplikaatioita.

[Katso lista mahdollisen infektion merkeistä sivulta 17](#)



## Yleinen terveydentila

Ennen Zolgensma-hoitoa on tärkeää, että lapsesi yleinen terveydentila on riittävän hyvä, tai muuten hoitoa voidaan joutua siirtämään. Nestetasapainon ja ravitsemustilan on oltava hyvä, eikä lapsellasi saa olla aktiivisia infektioita. Jos olet huolissasi lapsesi terveydentilasta ennen Zolgensma-hoitoa, keskustele lapsesi lääkärin, sairaanhoitajan tai farmaseutin tai muun terveydenhuollon ammattilaisen kanssa.

## 2. Hoitopäivänä

**Lapsesi hoitoon osallistuvat ammattilaiset pitävät huolen, että tiedät tarkalleen, mitä odottaa hoitopäivältä ja miten valmistautua siihen.**



### Kortikosteroidit

Ensimmäinen annos kortikosteroideja (prednisoloni tai jokin muu kortikosteroidi) annetaan lapsellesi 24 tuntia ennen Zolgensma-hoitoa. [Katso tietoa kortikosteroidien annostelusta ennen Zolgensma-hoitoa sivulta 21.](#)

Zolgensma-hoitopäivänä lapsesi saa toisen annoksen kortikosteroideja (prednisoloni tai jokin muu kortikosteroidi) lääkärin ohjeistuksen mukaan. Kortikosteroidin annostelu ohjeen mukaisesti on tärkeää mahdollisesti kehittyvän maksaentsyymien tason nousun hoidossa. Kerrothan lapsesi lääkärille, sairaanhoitajalle tai farmaseutille, jos lapsesi oksentaa kortikosteroidin antamisen jälkeen, ettei tarvittava ja oikea kortikosteroidiannos jää saamatta.



### Zolgensma annetaan lapsellesi ainoastaan KERRAN



### Zolgensma-infuusio

Zolgensma annetaan lapsellesi kertainfuusiona (tiputuksena) laskimoon (laskimoverisuoneen). Tätä varten lapsesi verisuoneen asennetaan neulalla katetri (muovinen putki). Toissijainen varakatetri laitetaan siltä varalta, että ensisijainen katetri tukkeutuu. Infuusiohoidon antaa spinaalista lihasatrofiaa (SMA) sairastavien potilaiden hoitoon perehtynyt lääkäri tai sairaanhoitaja. Infuusio kestää noin 60 minuuttia.

Lapsesi lääkäri päättää lapsesi painon perusteella, kuinka paljon lapsesi saa Zolgensmaa.

## 3. Hoidon jälkeen

Lapsesi lääkäri päättää Zolgensma-hoidon jälkeisen sairaalajakson pituudesta. Jos sinulla on kysyttävää, käänny lapsesi hoitoon osallistuvien ammattilaisten puoleen.



### Mahdolliset haittavaikutukset

Kuten kaikki lääkkeet, tämäkin lääke voi aiheuttaa haittavaikutuksia. Kaikki eivät kuitenkaan niitä saa.

**KÄÄNNY VÄLITTÖMÄSTI LÄÄKÄRIN PUOLEEN, JOS HAVAITSET LAPSELLASI MITÄ TAHANSA SEURAAVISTA VAKAVISTA HAITTAVAIKUTUKSISTA TAI OIREISTA:**



- **Mustelmien muodostus** tai tavallista pidempään jatkuva **verenvuoto**, jos lapsesi on satuttanut itsensä – ne saattavat olla merkkejä veren matalasta trombosyyttitasosta.
- **Mustelmien ilmaantuminen herkästi, kouristuskohtaukset, vähentynyt virtsan määrä** – ne voivat olla merkkejä veren hyytymisestä normaalista poikkeavalla tavalla pienissä verisuonissa (tromboottinen mikroangiopatia). Näihin oireisiin ja löydöksiin on kiinnitettävä huomiota hyvin tarkasti, sillä hoitamattomana veren epänormaali hyytyminen voi olla hengenvaarallinen tila.
- **Oksentelu, keltaisuus** (ihon tai silmän valkuaisten kellastuminen) tai **alentunut vireystaso** – ne saattavat olla merkkejä maksavauriosta (mukaan lukien maksan vajaatoiminta).
- **Kalpean harmaa tai sinertävä ihonväri, hengitysvaikeudet** (esim. tihentynyt hengitys, hengenahdistus) sekä **käsien ja jalkojen** tai vatsan turvotus – ne saattavat olla merkkejä mahdollisista sydänongelmista.
- **Yskä, pihisevä hengitys, aivastelu, vuotava nenä, kurkkukipu** tai kuume – ne saattavat olla merkkejä infektiosta (esim. vilustuminen, influenssa tai ilmatiehyttulehdus).

## 3. Hoidon jälkeen *(jatkuu)*

**Keskustele heti lapsesi hoitoon osallistuvan ammattilaisen kanssa, jos lapsellesi kehittyy mikä tahansa muu haittavaikutus. Tällaisia voivat olla esimerkiksi:**

**Hyvin yleinen** (saattaa esiintyä useammalla kuin yhdellä ihmisellä 10:stä)

- Verikokeilla todettava maksaentsyymiarvojen nousu

**Yleinen** (saattaa esiintyä enintään yhdellä ihmisellä 10:stä)

- Oksentelu
- Kuume

### **Haittavaikutuksista ilmoittaminen:**

Jos havaitset haittavaikutuksia tai olet huolissasi siitä, onko jokin vialla, käänny lapsesi lääkärin, sairaanhoitajan, farmaseutin tai muun terveydenhuollon ammattilaisen puoleen.

Tämä koskee kaikkia mahdollisia haittavaikutuksia, riippumatta siitä, mainitaanko niitä tässä oppaassa ja lapsesi lääkepakkauksen mukana olevassa pakkausselosteessa.

Voit ilmoittaa haittavaikutuksista myös suoraan kansallisen ilmoitusjärjestelmän kautta (Fimean yhteystiedot oppaan viimeisellä sivulla). Ilmoittamalla haittavaikutuksista voit auttaa hankkimaan enemmän tietoa tämän lääkevalmisteen turvallisuudesta.





## Kortikosteroidit

Lapsellesi annetaan kortikosteroidihoitoa päivittäin noin 2 kuukauden ajan Zolgensma-annoksen jälkeen. Tämä aikajakso voi pidentyä, jos lapsesi maksaentsyymiarvot eivät laske riittävän nopeasti. Hoitoa jatketaan, kunnes arvot laskevat hyväksyttävälle tasolle. Lapsellesi annettavaa kortikosteroidiannosta pienennetään tänä aikana hitaasti, kunnes hoito voidaan kokonaan lopettaa.

Lapsesi lääkäri selittää, milloin ja miten hoitohenkilökunta lopettaa lapsesi kortikosteroidihoidon. Kerrothan lapsesi lääkärille, sairaanhoitajalle tai farmaseutille, jos lapsesi oksentaa kortikosteroidin antamisen jälkeen, tai jos prednisoloniannos jää **syystä tai toisesta** antamatta, ettei tarvittava ja oikea kortikosteroidiannos jää saamatta Zolgensma-hoidon jälkeen.

Älä lopeta kortikosteroidihoitoa, ennen kuin olet keskustellut asiasta lapsesi lääkärin, sairaanhoitajan tai farmaseutin tai muun terveydenhuollon ammattilaisen kanssa.

**Jos sinulla on kysyttävää kortikosteroideista, keskustele lapsesi lääkärin, sairaanhoitajan tai farmaseutin tai muun terveydenhuollon ammattilaisen kanssa.**



## 3. Hoidon jälkeen (jatkuu)



### Säännöllinen seuranta

Zolgensma-hoidon jälkeen terveydenhuollon tiimi seuraa lapsesi tilaa säännöllisesti. Seurantakäyntejä on tarpeen mukaan; joko yleisiä tarkastuksia varten, tai jos lapsellesi ilmaantuu haittavaikutuksia, tai jos sinulla on huolenaiheita tai kysymyksiä.

SMA-potilaiden tulee saada asianmukaista hoitoa, tukihoidot mukaan lukien. On tärkeää, että lapsesi lääkärin kanssa keskustellette siitä, miten terveydenhuollon tiimi jatkaa lapsesi hoidon tukena olemista.



### Säännölliset verikokeet

Zolgensma-hoidon jälkeen lapsellesi tehdään säännöllisiä verikokeita:

- Maksan toiminta – verikokeet vähintään 3 kuukauden ajan hoidon jälkeen maksaentsyymitasojen nousun seuraamiseksi. Jos lapsesi maksan toiminta huononee Zolgensma-hoidon jälkeen tai jos lapsellasi on maksasairauden merkkejä, lääkäri arvioi lapsen vointia viipymättä ja seuraa tilannetta tarkasti.
- Trombosyytit ja troponiini-I – verikokeita tehdään jonkin aikaa hoidon jälkeen trombosyytti- ja troponiini-I-tasojen muutosten seuraamiseksi.

Verikokeiden tuloksista sekä muista merkeistä ja oireista riippuen voidaan tarvita lisäkokeita. On tärkeää noudattaa tarkasti verikokeiden aikataulua ja ilmoittaa välittömästi lapsesi hoitotiimille kaikista merkeistä ja oireista, joita lapsellesi mahdollisesti ilmaantuu Zolgensma-hoidon jälkeen.



## Lapsesi kehon eritteistä huolehtiminen

Zolgensman sisältämää vaikuttavaa ainetta saattaa erittyä lapsesi kehon eritteiden mukana hoidon jälkeen. Sinun ja muiden lastasi hoitavien on noudatettava hyvää käsihygieniaa alla mainituilla tavoin **vähintään 1 kuukauden ajan** Zolgensman antamisesta.



**Käytä suojakäsineitä**, kun olet kosketuksissa lapsesi kehon nesteiden (virtsa) tai jätösten (uloste) kanssa.



**Puhdista kädet huolellisesti** lämpimällä juoksevalla vedellä ja saippualla tai alkoholipohjaisella desinfiointiaineella.



Pakkaa hävitettävät likaiset vaipat ja muu jäte **kahteen päällekkäiseen jätepussiin**. Kertakäyttöiset vaipat voidaan sitten hävittää talousjätteiden mukana.

**Jos sinulla on kysyttävää lapsesi kehon eritteistä huolehtimisesta, käännythän lapsesi lääkärin, sairaanhoitajan tai farmaseutin puoleen.**

## 3. Hoidon jälkeen (jatkuu)

### Tukihoidot

ZVaikka Zolgensma sisältää täysin toimivan kopion SMN-geenistä, lapsellasi on silti edelleen SMA.

SMA:ta sairastavien hoidossa käytettäviä tukihoidoja ovat:



Ortopediset hoidot



Fysioterapia



Tuki ravitsemukseen,  
syömiseen ja juomiseen



Hengityksen  
tukeminen,  
esimerkiksi  
unimaskin avulla



Hengitystieinfektioiden  
ehkäisy (esim. flunssan ja  
keuhkokuumeen ehkäisy  
rokotuksilla)



Eritteiden  
poistaminen  
hengitysteistä

**Lapsesi hoitoon osallistuvat ammattilaiset  
varmistavat kanssasi, että lapsesi saa  
tarvittavat tukihoidot.**



## Milloin tulee ottaa yhteyttä lääkäriin

**Käännä pikaisesti lääkärin puoleen seuraavissa tilanteissa:**



Zolgensma voi joskus vaikuttaa maksan toimintaan ja johtaa maksavaurioon. Mahdollisiin oireisiin, joita sinun on pidettävä silmällä sen jälkeen, kun lapsellesi on annettu tätä lääkettä kuuluvat **öksentelu, keltaisuus** (ihon tai silmän valkuaisten kellastuminen) tai alentunut vireystaso.

Zolgensma voi laskea veren trombosyyttiarvoja (trombosytopenia). Kerro lapsesi lääkärille, jos huomaat tähän viittaavia merkkejä kuten **mustelmien muodostusta** tai tavallista pidempään kestävää **verenvuotoa**, jos lapsesi on satuttanut itsensä.

Zolgensma voi lisätä riskiä sille, että veri hyyyty normaalista poikkeavalla tavalla pienissä verisuonissa (tromboottinen mikroangiopatia). Käännä pikaisesti lääkärin puoleen, jos huomaat lapsellasi **herkästi ilmaantuvia mustelmia**, kouristuskohouksia tai **virtsan määrä vähentyy**.

Zolgensma saattaa lisätä sydämen erään proteiinin, troponiini-I:n pitoisuuden nousua, mikä voi olla osoitus sydänvauriosta. Mahdollisia merkkejä, joista tulee heti keskustella lapsesi lääkärin kanssa, ovat **kalpean harmaa** tai **sinertävä ihonväri**, **hengitysvaikeudet**, **käsien ja jalkojen** tai **vatsan turvotus**.

Kerro lääkärille, jos lapsesi **öksentää** kortikosteroidihoidon aikana **ennen tai jälkeen Zolgensma-hoidon**. Tällä tavoin varmistutaan, ettei kortikosteroidiannosta (prednisoloni tai vastaava) jää väliin.

Kerro heti lääkärillesi, jos lapsellesi kehittyä mitä tahansa infektion viittaavia oireita tai löydöksiä (esim. vilustuminen, influenssa tai ilmatiehyttulehdus) **ennen** Zolgensma-hoitoa tai hoidon **jälkeen**, sillä ne voivat aiheuttaa vakavampia mahdollisesti kiireellistä lääkärinhoitoa vaativia komplikaatioita. Mahdollisia hengitysteiden virusinfektion merkkejä, joiden suhteen on oltava varuillaan, ovat **yskä**, **pihisevä hengitys**, **aivastelu**, **vuotava nenä**, **kurkkukipu** tai **kuume**.

## Lääkärin yhteystiedot

Terveydenhuollon ammattilaiset seuraavat lapsesi vointia Zolgensma-infuusion jälkeen. Jos sinulla on huolenaiheita ja haluat puhua lapsesi lääkärin tai terveydenhuoltotiimin kanssa, voit käyttää alla olevaa lomaketta heidän yhteystietojensa kirjaamiseen.

**Nimi:**  
**Rooli:**  
**Puh:**  
**Sähköposti:**

**Nimi:**  
**Rooli:**  
**Puh:**  
**Sähköposti:**

**Nimi:**  
**Rooli:**  
**Puh:**  
**Sähköposti:**

**Nimi:**  
**Rooli:**  
**Puh:**  
**Sähköposti:**

**Nimi:**  
**Rooli:**  
**Puh:**  
**Sähköposti:**

**Nimi:**  
**Rooli:**  
**Puh:**  
**Sähköposti:**

## Paikalliset yhdistykset



Eri maissa on lukuisia potilasyhdistyksiä, jotka voivat tukea sinua ja lastasi SMA:n kanssa. Yhdistykset tarjoavat tietoa SMA:sta, uusimmista tutkimustiedoista, ja yhteisön tukea. Kysy lapsesi lääkäriltä tai terveydenhuoltotiimiltä lisätietoja paikallisista yhdistyksistä.

## Tärkeitä sanoja

### Adenoassosioitunut virus 9 (AAV9)

Adenoassosioitunut virus 9 (AAV9) on eräänlainen virus. AAV9 voidaan muokata niin, ettei se aiheuta ihmisen sairastumista. Zolgensmassa muokattu AAV9 toimii vektorina eli kuljettimena ja sitä käytetään toimittamaan täysin toimiva kopio SMN-geenistä.

### Aivorunko

Aivorunko on osa aivoja, ja se tukee kehon kriittisiä toimintoja, mukaan lukien hengitystä ja unta. Aivorunko yhdistää selkäytimen aivojen muihin osiin.

### Atrofia

Atrofia tarkoittaa surkastumista tai kutistumista. Esimerkiksi lihaksen surkastumista kutsutaan lihasatrofiaksi.

### Deoksiribonukleiinihappo (DNA)

DNA tai deoksiribonukleiinihappo on ihmisen, ja melkein kaikkien muidenkin organismien, perinnöllinen materiaali. Lähes jokaisella ihmisen kehon solulla on sama DNA.

### Geenit

Joukko ohjeita, jotka voivat kertoa keholle, miten valmistaa proteiineja. Geenit esiintyvät aina pareittain; yksi kopio periytyy kummaltakin vanhemmalta.

### Geeniterapia

Geeniterapia on tapa hoitaa sairautta tai estää sen etenemistä geenien avulla. Geeniterapioita on erilaisia ja ne toimivat eri tavoin. Näitä ovat puuttuvien tai viallisten geenien korvaaminen tai korjaaminen joko lisäämällä uusi geeni toisen lääkkeen toiminnan parantamiseksi tai pysäyttämällä ohjeet geeniltä, joka tuottaa liikaa proteiinia, ja josta tulee siten haitallista keholle.

### Geneettinen sairaus

Viallisen tai puuttuvan geenin tai geenien aiheuttama sairaus. Geneettiset sairaudet ovat periytyviä. SMA on esimerkki geneettisestä sairaudesta.

### Haittavaikutus

Haittavaikutus on lääkkeen toissijainen ja yleensä ei-toivottu vaikutus.

### Kortikosteroidit

Kortikosteroidit ovat lääkkeitä, jotka tukahduttavat immuunijärjestelmää ja niillä pyritään hallitsemaan maksaentsyymien mahdollista nousua Zolgensma-hoidon jälkeen.

### Liikehermosolut

Nämä erityiset hermosolut kuljettavat signaaleja eli viestejä aivoista lihaksiin ohjatakseen liikettä. Liikehermosoluja on kahden tyyppisiä: ylemmät liikehermosolut kuljettavat signaaleja aivoista aivorunkoon ja selkäyttimeen, ja alemmat liikehermosolut kuljettavat signaaleja ylemmistä liikehermosoluista lihaksiin.



## Motoneuronit eli liikehermosolut

kts. liikehermosolut

### Prednisoloni

Prednisoloni on yksi kortikosteroideiksi kutsutuista lääkkeistä. Se auttaa hallitsemaan maksan entsyymien mahdollista nousua Zolgensma-hoidon jälkeen.

### Proteiinit

Proteiinit ovat tärkeitä molekyylijä, jotka ovat mukana melkein kaikissa elimistön toiminnoissa. Proteiinit auttavat rakentamaan kehon soluja ja auttavat samalla soluja kuljettamaan ja tuottamaan tärkeitä aineita, korjautumaan ja selviytymään.

### SMN1-geeni

SMN1-geeni on ensisijainen SMN-geeni, joka tuottaa SMN-proteiinia, jota liikehermosolut tarvitsevat toimiakseen kunnolla. SMA-potilailla tämän geenin molemmat kopiot ovat viallisia tai puuttuvat. Tämä tarkoittaa, että kehon solut eivät kykene tuottamaan tarpeeksi SMN-proteiinia.

### SMN2-geeni

SMN2-geeni toimii "varalla" SMN-proteiinituotannon tukemiseksi. SMN2 tuottaa vain pieniä määriä toimivaa SMN-proteiinia.

### Survival Motor Neuron (SMN) -proteiini

SMN-proteiini on elintärkeä liikehermosolujen toiminnalle ja selviytymiselle. Jos SMN-proteiineja ei ole tarpeeksi, liikehermosolut heikkenevät ja lopettavat toimintansa. Keho tuottaa SMN-proteiinia SMN-geenistä.

### Spinaalinen lihasatrofia (SMA)

Spinaalinen lihasatrofia (SMA) on harvinainen sairaus, joka saa lihakset vähitellen heikentymään, koska kehon erikoistuneet hermosolut, joita kutsutaan liikehermosoluiksi, ja jotka hallitsevat lihasten liikkumista, lakkaavat toimimasta. Liikehermosolut heikkenevät ja lakkaavat toimimasta, koska niillä ei ole tarpeeksi SMN-proteiinia.

### Suonensisäinen infuusio

Tiputus laskimoon katetrilla (muoviputki), joka työnnetään laskimoon neulalla.

### Trombosyytti

Vereen kuuluva solutyyppe, joka on vastuussa veren hyytymisestä.

### Vasta-aineet

Ihmisen immuunijärjestelmä muodostaa vasta-aineita. Niiden tehtävä on suojata elimistöä sairauksilta. Jokainen vasta-aine on yksilöllinen ja suojaa elimistöä tietyn tyyppiseltä sairaudelta.





**Lisätietoa tästä lääkevalmisteesta, mukaan lukien  
PAKKAUSSELOSTE, on saatavilla Euroopan lääkeviraston  
verkkosivulta:**

[https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/  
zolgensma-epar-product-information\\_fi.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/zolgensma-epar-product-information_fi.pdf)

Voit ilmoittaa haittavaikutuksista suoraan kansallisen ilmoitusjärjestelmän kautta:  
Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea,  
Lääkkeiden haittavaikutusrekisteri, PL 55, 00034 FIMEA.  
[www.fimea.fi](http://www.fimea.fi)

Voit ilmoittaa haittavaikutuksista myös suoraan myyntiluvan haltijalle: Novartis Finland  
Oy, Metsänneidonkuja 10,  
02130 Espoo, puh. 010 6133 200,  
[www.novartis.fi](http://www.novartis.fi)

**Hyödyllisiä yhteystietoja:**

---

---

---

---

Tämän oppaan on laatinut Novartis Europharm Limited. Annetut tiedot on tarkoitettu vain koulutustarkoituksiin, eikä niitä ole tarkoitettu korvaamaan keskustelua lääkärin tai hoitotiimin kanssa. Tiedot liittyvät spinaaliseen lihasatrofiaan ja ne on tarkoitettu yleiskatsaukseksi.

FI2307032454

Novartis Finland Oy  
Metsänneidonkuja 10, 02130 Espoo  
Puh. 010 6133 200  
[www.novartis.fi](http://www.novartis.fi)

© 2023 Novartis Europharm Limited. All rights reserved.

 **NOVARTIS**

 **zolgensma®**  
(onasemnogeeniabeparoveekki)