



▼ 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.**

**Tämä opas tarjoaa sinulle hyödyllistä tietoa seuraavista aiheista:**

- **Mikä SMA on?**
- **Tietoa Zolgensmasta ja sen vaikutustavasta**
- **Tärkeää tietoa turvallisuuteen ja valmisteen mahdollisiin haittavaikutuksiin liittyvistä asioista**
- **Zolgensma-hoidon vaiheet**

Jos sinulla on mitä tahansa kysyttävää tai huolenaiheita hoitoon tai lapsesi terveydentilaan liittyen, käännythän lääkärin, sairaanhoitajan, farmaseutin tai muun terveydenhuollon ammattilaisen puoleen.

## **Hyödyllisiä yhteystietoja**

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

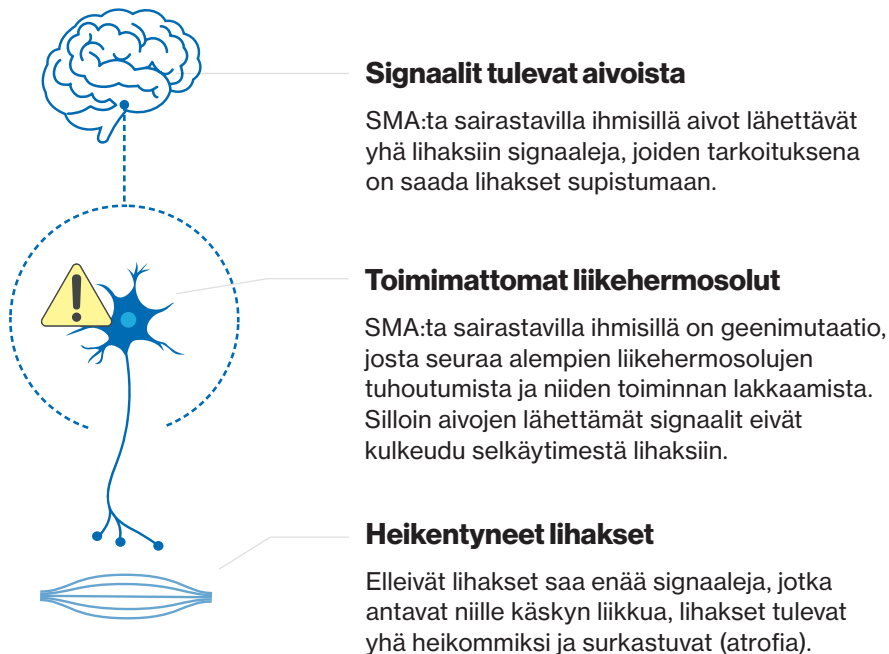
---

# Mitä opas sisältää?

<b>Tietoa SMA:sta</b>	4
• Mikä SMA on?	4
• SMA:n eri tyypit	5
• Mikä aiheuttaa SMA:n?	6
• SMA:han sairastumiseen vaikuttavat tekijät	7
<b>Tietoa Zolgensma-hoidosta</b>	8
• Mikä Zolgensma on?	8
• Zolgensma pitkälle edenneessä SMA:ssa	9
<b>Zolgensma-hoidon riskien ymmärtäminen</b>	10
Tärkeää Zolgensma-hoidon turvallisuuteen ja mahdollisiin haittavaikutuksiin liittyvää tietoa	
<b>Zolgensma-hoito</b>	15
• Ennen hoitoa	16
• Hoitopäivänä	18
• Hoidon jälkeen	19
<b>Milloin tulee ottaa yhteyttä lääkäriin</b>	25
<b>Lääkärin yhteystiedot</b>	26
<b>Paikalliset yhdistykset</b>	27
<b>Tärkeitä sanoja</b>	28
Hyödyllisiä määritelmiä tässä oppaassa käytetyille sanoille	
<b>Muistiinpanoja</b>	30

## Mikä SMA on?

**Spinaalinen lihasatrofia (SMA)** on harvinainen ja vakava perinnöllinen sairaus, jossa tiettyjen hermoyhteyksien menettäminen aiheuttaa lihasheikkoutta. Tämä johtuu siitä, että lihasten liikkeitä hallinnoivat hermosolut eli liikehermosolut tuhoutuvat ja menettävät toimintakykynsä.



SMA- potilaiden kyky ajatella, oppia ja muodostaa ihmissuhteita pysyy muuttumattomana.

## Mitä oireita SMA:ssa on?

SMA:n oireet ovat moninaisia. Oireet ja niiden vaikeusaste voivat vaihdella henkilöiden välillä. SMA voi vaikuttaa päivittäisiin toimintoihin, kuten hengitykseen, syömiseen, istumiseen, ryömimiseen ja kävelyyn. Mitä varhaisemmassa vaiheessa SMA:n oireita esiintyy, sitä vaikeampi tautimuoto on todennäköisesti kyseessä.

# SMA:n eri tyypit

Diagnoosia tehdessä SMA-potilaiden tauti voidaan luokitella eri tyyppeihin sen perusteella, missä iässä potilaan oireet alkoivat ja minkä tasoisen toimintakyvyn eli minkä "motorisen virstanpylvään" potilas on saavuttanut. Seuraavat motoriset virstanpylväät ovat olennaisia SMA-tautityypin määrittämisen kannalta:



Pään nostaminen



Käsillä tarttuminen



Ryöminen



Istuminen



Kierähtäminen



Seisominen ja käveleminen

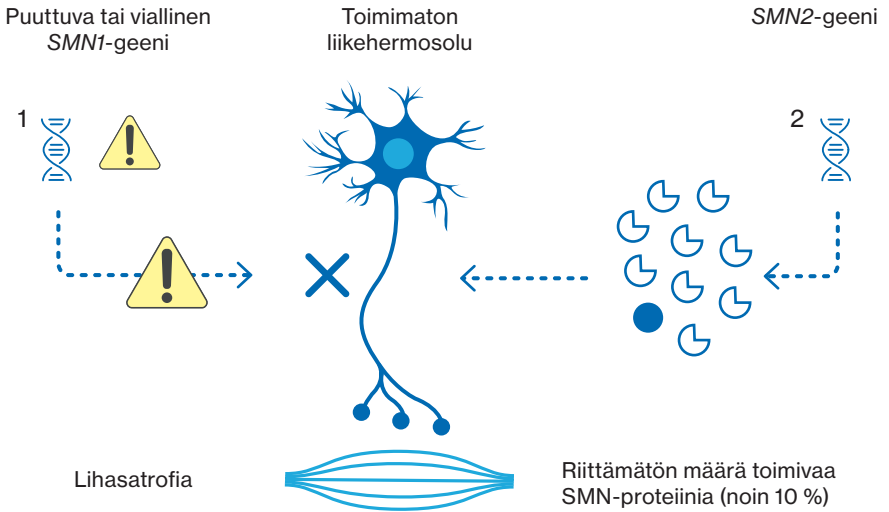
Ikä oireiden alkaessa	Syntymä	≤ 6 kk	6-18 kk	> 18 kk	≥ 18 vuotta
Toiminnallinen kyky	Sikiöön kohdistuneet vaikutukset, mahdollisesti jo ennen syntymää	Ei kykene istumaan itsenäisesti	Kykenee istumaan ja saattaa seistä, ei kykene kävelemään itsenäisesti	Kävelee itsenäisesti	Kävelee itsenäisesti aikuisuuteen saakka
Luokittelu	SMA tyyppi 0	SMA tyyppi 1	SMA tyyppi 2	SMA tyyppi 3	SMA tyyppi 4
Vaikeusaste					

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.

## Mikä aiheuttaa SMA:n?

Jotta liikehermosolut kykenisivät selviytymään ja toimimaan kunnolla, elimistö tarvitsee Survival Motor Neuron (SMN) -nimistä proteiinia. Ilman SMN-proteiinia selkäytimen liikehermosolut lakkaavat toimimasta ja lihakset heikkenevät. Elimistö tuottaa SMN-proteiinia *SMN*-geenien ohjaamana.

SMA:ta sairastavilla henkilöillä ensisijainen *SMN*-geeni, eli *SMN1*, on viallinen tai se puuttuu kokonaan. Toinen *SMN*-geeni, eli *SMN2*, toimii taustalla ”varalla”, mutta tuottaa vain pieniä määriä SMN-proteiinia. SMA:ssa elimistö ei pysty tuottamaan tarpeeksi SMN-proteiinia ja liikehermosolut lakkaavat toimimasta. Tämä aiheuttaa lihasten heikkenemistä.



- Toimiva SMN-proteiini
- Toimimaton SMN-proteiini

# SMA:han sairastumiseen vaikuttavat tekijät

SMA on yleensä peritty, vaikkakin joskus sairastuminen johtuu satunnaisesta virheestä *SMN1*-geenissä.

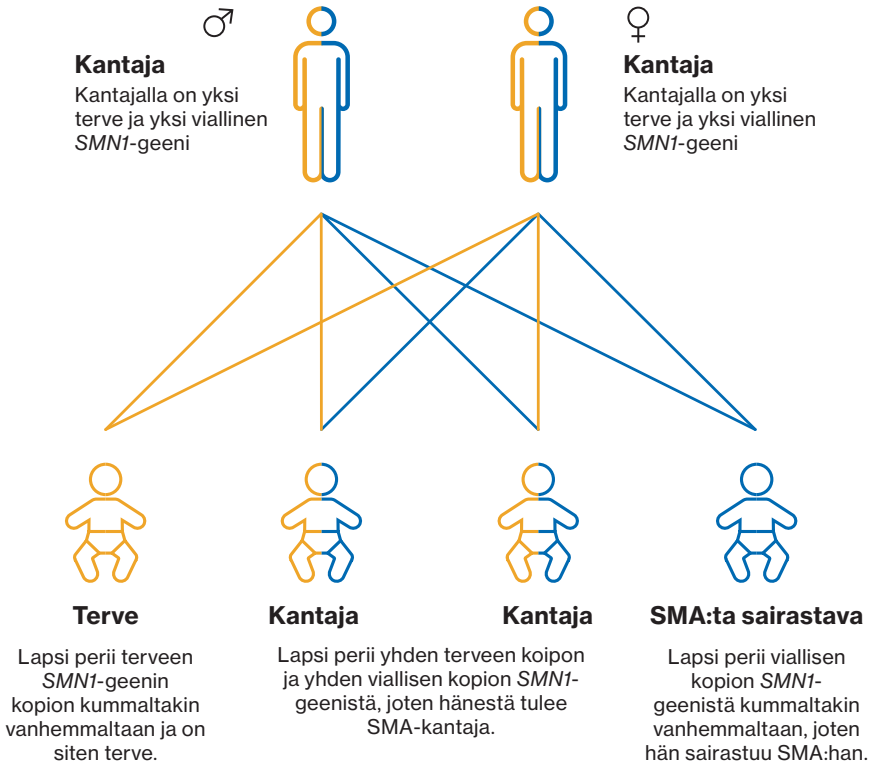
Lapsi perii kaksi kopiota *SMN1*-geenistä, yhden kummaltakin vanhemmaltaan. Puolet lapsen geneettisestä perimästä on peräisin äidiltä ja puolet isältä. Henkilöitä, joilla on yksi terve ja yksi viallinen *SMN1*-geeni, sanotaan kantajiksi ja heillä ei yleensä esiinny SMA:n oireita. Jos molemmat vanhemmat ovat kantajia, on käytännössä 25 %:n mahdollisuus, että vauva perii SMA:n ja sairastuu siihen.



Noin **1 henkilö 50:stä** on SMA:n kantaja



SMA:han sairastuu noin **1 elävänä syntyvä vauva 10 000-12 000:sta**, rippumatta etnisestä taustasta tai sukupuolesta



# Mikä Zolgensma on?

**Zolgensmaa käytetään SMA:ta sairastavien vauvojen ja pikkulasten hoitoon. Zolgensma on hoitomuoto, jota kutsutaan geeniterapiaksi.**

Zolgensma sisältää muokattua AAV9-virusta, jonka sisällä on täysin toimiva kopio SMN-geenistä (geeni, joka SMA-tautia sairastavalla on viallinen).

Zolgensman sisältämä AAV9-virus kuljettaa korvaavan geenin kehoon ja soluihin, joissa sitä tarvitaan.

# 1

Zolgensmassa SMN-geeni on muokattun AAV9-viruksen sisällä. Virus ei aiheuta sairautta ihmisille.



AAV9 DNA

AAV9



AAV9, josta DNA on poistettu



Zolgensma

# 2

Zolgensma annetaan lapsesi laskimoon



Zolgensma



# 3

Zolgensman sisältämä muokattu virus kuljettaa SMN-geenin kehossa soluihin, joissa sitä tarvitaan



Zolgensma



Lapsesi solut

# 4

Toimittamalla täysin toimivan kopion SMN-geenistä, Zolgensma auttaa kehoa tuottamaan riittävän määrän SMN-proteiinia



SMN-proteiini



## 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 eivät ole 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, SAIRAAHOITAJAN, 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, mukaan lukien 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 jos 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 3 viikon aikana. Veren matalan trombosyyttitason mahdollisia löydöksiä, 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.



## Kohonnut troponiini-I-pitoisuus

Zolgensma saattaa aiheuttaa sydämen erään proteiinin, troponiini-I:n pitoisuuden nousua, mikä voi viitata sydänvaurioon.

Mahdollisia sydänvaurion löydöksiä, joiden suhteen on oltava varuillaan lapsesi saatua Zolgensmaa, ovat kalpean harmaa tai sinertävä ihonväri, hengitysvaikeudet (tihentynyt hengitys, hengenhädistys) 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 oireista ja löydöksistä riippuu, tarvitaanko lisäarviointeja. Lapsesi lääkäri päättää, kuinka kauan verikokeiden ottoa jatketaan.



Saat lisätietoa Zolgensmasta 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, SAIRAAHOITAJAN, 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).



## 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. Se on vähintään 2 kuukautta.

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

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



## 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.



## 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 sekä tapaamisten määrää rajoittamalla.

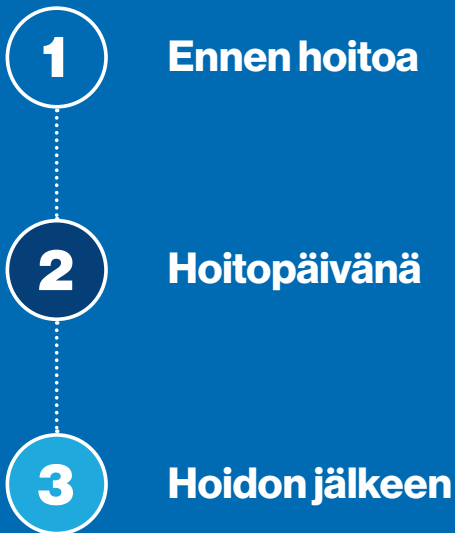
## Zolgensma-hoidon riskien ymmärtäminen (jatkuu)

### HAKEUDU VÄLITTÖMÄSTI LÄÄKÄRIN HOITOON, JOS HAVAITSET LAPSELLASI MITÄ TAHANSA SEURAAVISTA OIREISTA TAI LÖYDÖKSISTÄ:

- **Mustelmat** tai tavallista pidempään jatkuva **verenvuoto**, jos lapsesi on satuttanut itsensä – ne saattavat olla löydöksiä veren matalasta trombosyyttitasosta.
- **Mustelmien ilmaantuminen herkästi, kouristuskohtaukset, vähentynyt virtsan määrä** – ne voivat olla löydöksiä 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 löydöksiä 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 löydöksiä mahdollisista sydänongelmista.
- **Yskä, pihisevä hengitys, aivastelu, vuotava nenä, kurkkukipu tai kuume** – ne saattavat olla löydöksiä 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 infektiin 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 löydöksistä sivulta 13](#)



## 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 infektiota. 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 lisätietoa kortikosteroidien annostelusta ennen Zolgensma-hoitoa sivulta 17.](#)

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 ja sitä jatketaan määrätyn aikaa hoidon jälkeen. Katso lisätietoa kortikosteroidien annostelusta Zolgensma-hoidon jälkeen sivulta 21.

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. Infuusioidon 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 löydöksiä veren matalasta trombosyyttitasosta.
- **Mustelmien ilmaantuminen herkästi, kouristuskohtaukset, vähentynyt virtsan määrä** – ne voivat olla löydöksiä 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 löydöksiä 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 löydöksiä mahdollisista sydänongelmista.
- **Yskä, pihisevä hengitys, aivastelu, vuotava nenä, kurkkukipu** tai kuume – ne saattavat olla löydöksiä 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 pakkauselosteessa.

Voit ilmoittaa haittavaikutuksista myös suoraan kansallisen ilmoitusjärjestelmän kautta (Fimean yhteystiedot oppaan viimeisellä sivulla). Ilmoittamalla haittavaikutuksista voit auttaa keräämään 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 lapsesi kortikosteroidihoito lopetetaan. 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 keskustellette lapsesi lääkärin kanssa 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 löydöksiä, 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 oireista ja löydöksistä riippuen voidaan tarvita lisäkokeita. On tärkeää noudattaa tarkasti verikokeiden aikataulua ja ilmoittaa välittömästi lapsesi hoitotiimille kaikista oireista ja löydöksistä, 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

Vaikka 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 löydöksiä kuten **mustelmien muodostusta** tai tavallista pidempään kestävää **verenvuotoa**, jos lapsesi on satuttanut itsensä.

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

Zolgensma saattaa lisätä sydämen erään proteiinin, troponiini-I:n pitoisuuden nousua, mikä voi olla osoitus sydänvauriosta. Mahdollisia löydöksiä, 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 kehittyy mitä tahansa infekioon 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 löydöksiä, 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

Geenit ovat joukko ohjeita, jotka kertovat 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; uuden geenin lisääminen jonkin toisen lääkkeen tehon parantamiseksi; tai geenin toiminnan estäminen, jos geeni tuottaa proteiinia niin paljon ylimäärin, että siitä tulee haitallista.

## 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 liikkeitä. 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 eli valkuaisaineet**

Proteiinit ovat tärkeitä molekyylejä, 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-proteiinia tuottava geeni. Liikehermosolut tarvitsevat SMN-proteiinia 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-proteiinia ei ole tarpeeksi, liikehermosolut heikkenevät ja lopettavat toimintansa. Keho tuottaa SMN-proteiinia SMN-geenistä.

### **Spinaalinen lihasatrofia (SMA)**

Spinaalinen lihasatrofia (SMA) on harvinainen sairaus, jossa lihakset heikentyvät vähitellen. Tämä johtuu siitä, että kehon erikoistuneet lihasten liikkumista hallitsevat hermosolut eli liikehermosolut lakkaavat toimimasta. Liikehermosolut heikkenevät ja lakkaavat toimimasta SMN-proteiinin puutteen vuoksi.

### **Suonensisäinen infuusio**

Tiputus laskimoon katetrilla (muoviputki), joka työnnetään laskimoon neulan avulla.

### **Trombosyytti eli verihiutale**

Veren hyytymisestä vastaava verisolutyyppi.

### **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/fi/documents/product-information/zolgensma-epar-product-information\\_fi.pdf](https://www.ema.europa.eu/fi/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)**

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

FA-11274064\_23092024

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

© 2024 Novartis Europharm Limited. All rights reserved

 **NOVARTIS**

 **zolgensma®**  
(onasemnogene  
abeparvovec)