

▼ Detta läkemedel är föremål för utökad övervakning.

Guide för vårdgivare till **ZOLGENSMA[®]** behandling

Du har fått den här guiden av barnets läkare eftersom ditt barn har ordinerats Zolgensma[®].

Syftet med den här guiden är att ge praktisk information som stöd för samtal med din läkare. Den ska läsas tillsammans med bipacksedeln som medföljer detta läkemedel.

Zolgensma är föremål för utökad övervakning för att snabbt kunna identifiera nya biverkningar. Om ditt barn får biverkningar, tala med barnets läkare, sjuksköterska eller

apotekspersonal/annan sjukvårdspersonal. Detta gäller även eventuella biverkningar som inte nämns i denna guide eller i bipacksedeln.

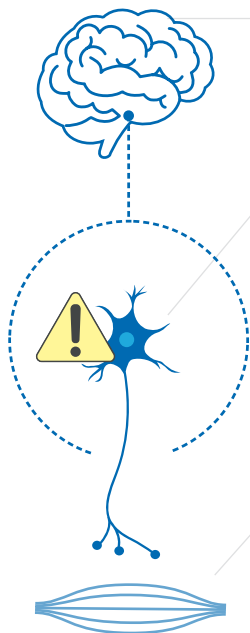
Om du har frågor om eller oro kring Zolgensma, tala med barnets läkare, sjuksköterska eller apotekspersonal/ annan sjukvårdspersonal.

Guidens innehåll

Om SMA	4
• Vad är SMA?	4
• Vilka är de olika typerna av SMA?	5
• Vad orsakar SMA?	6
• Hur får man SMA?	7
Om Zolgensma	8
• Vad är Zolgensma?	8
• Zolgensma vid SMA i framskridet stadium	9
Förstå riskerna med Zolgensma	10
Viktig säkerhetsinformation och möjliga biverkningar av Zolgensma	
Behandling med Zolgensma	15
• Före behandlingen	16
• Behandlingsdagen	18
• Efter behandlingen	19
När man ska söka läkarvård	25
Kontaktuppgifter till läkare	26
Lokala organisationer	27
Termer man bör känna till	28
Här hittar du förklaringar av de termer som används i guiden	
Anteckningar	30

Vad är SMA?

Spinal muskelatrofi (SMA) är en sällsynt genetisk sjukdom där nerver försvinner, vilket orsakar svaghet i musklerna. Detta beror på att speciella nervceller i kroppen som styr muskelrörelser, så kallade motorneuroner, försämras och slutar fungera.



Signalerna kommer från hjärnan

Hos personer med SMA genereras fortfarande signaler för muskelrörelser i hjärnan.

Dysfunktionella motorneuroner

Personer med SMA har en genetisk mutation som medför att de nedre motorneuroner bryts ned och slutar fungera. Det innebär att signalerna från hjärnan inte överförs från ryggmärgen till muskeln.

Försvagade muskler

När musklerna inte längre får några signaler som instruerar dem att röra sig blir de successivt allt svagare (förtvinnade).



I SMA är patientens förmåga att tänka, lära sig eller skapa relationer oförändrad.

Vilka är symtomen på SMA?

SMA har en rad symtom som kan variera från person till person och i svårighetsgrad. SMA kan påverka dagliga aktiviteter som att andas, äta, sitta, krypa och gå. Ju tidigare symtom på SMA uppträder, desto allvarligare sjukdomen sannolikt kommer att vara.

Vilka är de olika typerna av SMA?

Vid diagnos kan individer med SMA klassificeras i typer baserat på deras ålder vid symtomdebut och maximala funktionsförmåga, eller "motoriska milstolpar". Motoriska milstolpar som är relevanta för att förstå vilken typ av SMA barn kan ha inkluderar deras förmåga att:



Lyfta på huvudet



Hålla ett föremål i handen



Krypa



Sitta



Rulla runt



Stå och gå

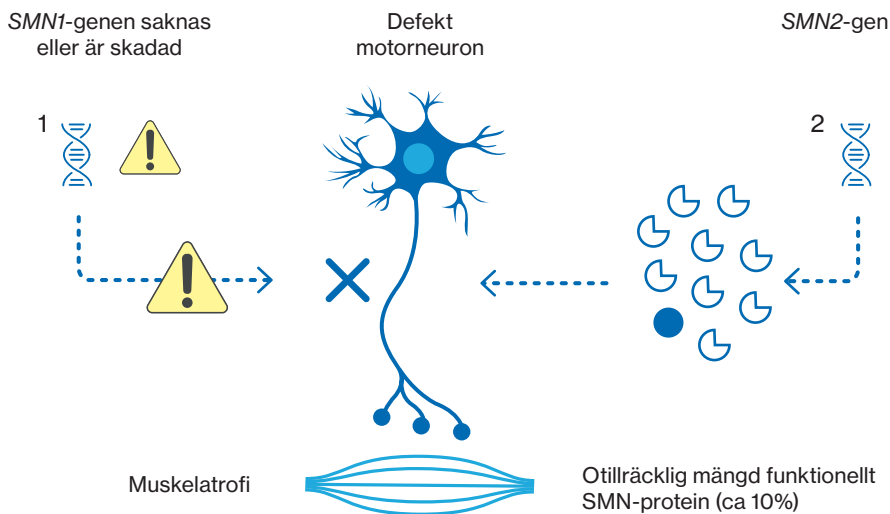
Ålder vid symtomdebut	Födelse	≤ 6 månader	6–18 månader	> 18 månader	≥ 18 år
Funktionsförmåga	Fostret drabbat, kan ske innan födseln	Kan inte sitta utan stöd	Kan sitta och eventuellt stå, kan inte gå utan stöd	Gång utan stöd	Gång utan stöd fram till vuxen ålder
Klassificering	SMA Typ 0	SMA Typ 1	SMA Typ 2	SMA Typ 3	SMA Typ 4
Svårighetsgrad					

Utan ingripande eller behandling förkortas livslängden för barn med allvarigare former av SMA. Genom tidiga vård- och behandlingsinsatser kan försämringen bromsas in, och barn kan ofta uppnå milstolpar som sällan ses under sjukdomens naturliga förlopp.

Vad orsakar SMA?

För att motorneuroner ska fungera och överleva behöver kroppen ett så kallat SMN-protein, där SMN står för överlevnadsmotorneuron. Utan detta SMN-protein slutar motorneuroner i ryggmärgen att fungera och musklerna försvagas. SMN-proteinproduktionen i kroppen kodas av SMN-genen.

Vid SMA är den huvudsakliga SMN-genen som kallas *SMN1* skadad eller saknas helt. Det finns en andra SMN-gen som kallas *SMN2* som fungerar mer som en "reservgen" och bara producerar små mängder SMN-protein. Vid SMA produceras inte tillräckligt med SMN-protein och de motoriska nervcellerna slutar fungera vilket gör att musklerna blir svagare.



- Funktionellt SMN-protein
- ◐ Dysfunktionell SMN-protein

Hur får man SMA?

SMA ärvs vanligtvis, även om det ibland orsakas av ett slumpmässigt fel i *SMN1*-genen.

Ett barn ärver två kopior av *SMN1*-genen, en från sin mamma och en från sin pappa. Hälften av barnets genetiska information kommer från mamman och hälften från pappan.

Personer med en opåverkad och en skadad *SMN1*-gen kallas bärare och uppvisar vanligen inga symtom på SMA. Om båda föräldrarna är anlagsbärare finns det i praktiken 25 % chans att barnet ärver och utvecklar SMA.



Omkring **1 av 50** personer är bärare av SMA



SMA drabbar cirka **1 i 10 000 - 12 000** levande födselar och kan påverka alla oavsett härkomst och kön



Bärare

Har en defekt och en frisk kopia av *SMN1*-genen



Bärare

Har en defekt och en frisk kopia av *SMN1*-genen



Frisk

Barnet har ärvt en opåverkad kopia av *SMN1*-genen från båda föräldrarna och är alltså frisk



Bärare

Barnet har ärvt en opåverkad kopia och en skadad kopia av *SMN1*-genen och blir därmed bärare av SMA



Bärare



Drabbad av SMA

Barnet har ärvt en skadad kopia av *SMN1*-genen från båda föräldrarna och utvecklar därför SMA

Vad är Zolgensma?

Zolgensma används för att behandla spädbarn och små barn med SMA. Zolgensma är en typ av behandling som kallas "genterapi".

Zolgensma består av ett modifierat virus, AAV9, som innehåller en fullt fungerande kopia av *SMN*-genen (den gen som är defekt vid SMA). AAV9-viruset i Zolgensma används för att föra in ersättningsgenen i kroppen och cellerna där den behövs.

1

I Zolgensma placeras *SMN*-genen inuti ett modifierat virus (AAV9) som inte orsakar sjukdom hos människor.



2

Zolgensma ges intravenöst (i en ven) till ditt barn



3

Det modifierade viruset i Zolgensma färdas genom kroppen och levererar *SMN*-genen till cellerna där den behövs.



4

Genom att tillföra en fullt fungerande kopia av *SMN*-genen, hjälper Zolgensma kroppen att producera tillräckligt med *SMN*-protein.



Zolgensma vid SMA i framskridet stadium

Zolgensma kan rädda ännu levande motorneuroner som fortfarande har tillväxtförmåga, men kan däremot inte rädda döda motorneuroner. Barn med mindre allvarliga symtom på SMA kan ha tillräckligt med levande motorneuroner för att ha nytta av behandling med Zolgensma. Zolgensma kanske inte fungerar lika bra för barn med svåra symtom.

Förstå riskerna med Zolgensma

Liksom alla läkemedel kan Zolgensma orsaka biverkningar, men alla användare behöver inte få dem.

OM DITT BARN UPPLEVER NÅGRA BIVERKNINGAR, KONTAKTA OMEDELBART BARNETS LÄKARE, SJUKSKÖTERSKA ELLER APOTEKSPERSONAL/ ANNAN SJUKVÅRDSPERSONAL



Viktig säkerhetsinformation och när man ska söka läkarvård



Leverproblem

Om ditt barn har eller har haft någon form av leverproblem ska du informera barnets vårdgivare om detta innan barnet får denna medicin. I vissa fall kan Zolgensma ge upphov till ett immunsvår som kan leda till en ökning av enzymer (proteiner i kroppen) som produceras av levern eller att levern skadas.

Skada på levern kan leda till allvarlig utgång, inklusive leversvikt och död. Tecken du behöver vara uppmärksam på när ditt barn har fått detta läkemedel är bland annat kräkning, gulsot (när hud eller ögonvitor gulnar) eller sänkt medvetandegrad. Tala omedelbart om för ditt barns läkare om du märker att ditt barn utvecklar några symtom som tyder på skada på levern.



Onormal blodkoagulering

Zolgensma kan öka risken för onormal koagulering av blodet i små blodkärl (trombotisk mikroangiopati) vanligtvis inom de 2 första veckorna efter Zolgensma-behandling. Dessa blodproppar kan påverka barnets njurar. Informera omedelbart läkaren om du uppmärksammar tecken och symtom som exempelvis att barnet lätt får blåmärken, får kramper (anfall) eller kissar mindre.

Extremt noggrann uppmärksamhet bör ägnas åt dessa tecken och symtom, eftersom onormal blodkoagulering (trombotisk mikroangiopati) är allvarlig och kan vara livshotande om den inte behandlas.



Lågt trombocytal

Zolgensma kan minska antalet blodplättar (trombocytopeni), vanligtvis inom de 3 första veckorna efter Zolgensma-behandling. Tecken på minskat antal blodplättar som du bör vara uppmärksam på hos ditt barn som fått Zolgensma är bland annat onormal förekomst av blåmärken eller blödningar.

Tala med ditt barns läkare om ditt barn utvecklar tecken sådana som blåmärken eller blödning som håller i sig längre än vanligt om barnet har gjort sig illa.



Förhöjt troponin-I

Zolgensma kan leda till förhöjda nivåer av ett hjärtprotein som kallas troponin-I och som kan tyda på skada på hjärtat. Du måste vara uppmärksam på tecken på hjärtproblem efter att barnet har fått Zolgensma, t.ex. blekgrå eller blå hy, andningssvårigheter (t.ex. snabb andning, andfåddhet), svullnad i armar och ben eller mage.

Innan behandling med Zolgensma påbörjas tas blodprover för att kontrollera leverfunktion, njurfunktion, antal blodkroppar (inklusive röda blodkroppar och blodplättar) och troponin-I-nivå.

Under minst 3 månader efter behandlingen tas regelbundna blodprover för kontroll av leverfunktionen och övervakning av förändringar i trombocyt- och troponin-I-nivåerna. Beroende på värden och andra tecken och symtom kan ytterligare utvärderingar krävas. Barnets läkare avgör hur länge testningen ska pågå.



Mer information om Zolgensma finns i bipacksedeln som medföljer ditt barns läkemedel. Du kan alltid tala med barnets vårdgivare om du har frågor.

Förstå riskerna med Zolgensma (forts.)

Liksom alla läkemedel kan Zolgensma orsaka biverkningar, men alla användare behöver inte få dem.

OM DITT BARN UPPLEVER NÅGRA BIVERKNINGAR, KONTAKTA OMEDELBART BARNETS LÄKARE, SJUKSKÖTERSKA ELLER APOTEKSPERSONAL/ ANNAN SJUKVÅRDPERSONAL.



Allergier

Barnet får inte ges Zolgensma vid allergi mot något av innehållsämnen (ingredienserna anges i avsnitt 6 i bipacksedeln som medföljer läkemedlet).



Kortikosteroider

Ditt barn kommer också att få kortikosteroider (prednisolon eller motsvarande) under en tid före och efter behandling med Zolgensma. Den tid som kortikosteroider kommer att ges till ditt barn efter behandling med Zolgensma varierar beroende på leverenzymvärden och andra tecken och symptom, och bestäms av ditt barns läkare. Denna period kommer att vara minst 2 månader.

En eventuell förhöjning av leverenzymerna som kan uppstå hos ditt barn på grund av immunsvaret på Zolgensma kan hanteras genom behandling med kortikosteroider. Kortikosteroiddosen beräknas av läkaren baserat på barnets vikt.

Under kortikosteroidbehandling kan ditt barn drabbas av infektioner eller andra vanliga barnsjukdomar som kan kräva användning av andra läkemedel. Före behandling med andra läkemedel, eller om du har frågor om kortikosteroider, är det viktigt att tala med barnets läkare, sjuksköterska eller apotekspersonal/ annan sjukvårdspersonal.



Andra läkemedel och Zolgensma

Zolgensma ges endast en gång till ditt barn. Tala om för läkaren eller sjuksköterskan om barnet får, nyligen har fått eller kan tänkas få andra läkemedel.



Infektion

Ditt barn kan ha ett försvagat immunförsvar på grund av kortikosteroider, vilket innebär att infektioner som friska människor vanligtvis kan bekämpa kan göra ditt barn allvarligt sjuk. Om ditt barn får en infektion (t.ex. förkylning, influensa eller bronkiolit) före eller efter behandling med Zolgensma kan detta eventuellt leda till andra allvarligare komplikationer som kan kräva akut läkarvård.

Tala omedelbart om för barnets läkare om du märker att ditt barn utvecklar något symptom som tyder på infektion **före** eller **efter** Zolgensma-behandling, sådan som:

- Hosta
- Nysningar
- Halsont
- Pipande andning
- Rinnande näsa
- Feber

Det är viktigt att förebygga infektioner före och efter behandling med Zolgensma genom att undvika situationer som kan öka risken för att ditt barn får infektioner. Du och andra nära kontakter med ditt barn kan hjälpa till att förhindra infektion genom att följa god handhygien, god hosta/nysetikett och begränsa potentiella kontakter.

Förstå riskerna med Zolgensma (forts.)

KORT SAGT - UPPSÖK GENAST LÄKARE OM DITT BARN UPPVISAR NÅGOT AV FÖLJANDE TECKEN ELLER SYMPTOM:



- **Blåmärken** eller **blödningar** som pågår längre än vanligt om barnet har gjort illa sig - detta kan vara tecken på ett minskat antal blodplättar (trombocytopeni)
- **Lätt att få blåmärken, får kramper** (anfall) eller **kissar mindre** - detta kan vara tecken på onormal koagulering av blodet i små blodkärl (trombotisk mikroangiopati). Extremt noggrann uppmärksamhet bör ägnas åt dessa tecken och symptom, eftersom onormal blodkoagulering kan vara livshotande om den inte behandlas
- **Kräkning, gulsot** (när hud eller ögonvitor gulnar) eller sänkt medvetandegrad – detta kan vara tecken på leverproblem (inklusive leversvikt)
- **Blekgrå eller blå hy, andningssvårigheter** (t.ex. snabb andning, andfåddhet), **svullnad i armar och ben eller i magen** – dessa kan vara tecken på eventuella problem med hjärtat
- **Hosta, pipande andning, nysningar, rinnande näsa, halsont eller feber** - detta kan vara tecken på infektion (t.ex. förkylning, influensa eller bronkiolit)

Behandling med Zolgensma

Informationen på följande sidor hjälper dig och familjen att förstå vad ni har att vänta er framöver



1. Före behandlingen

Ditt barns läkare kommer att testa för antikroppar innan behandling för att kunna fastställa om Zolgensma är lämpligt för ditt barn.



AAV9-antikroppstest

Kroppens immunsystem producerar antikroppar som bidrar till att skydda mot sjukdomar. Förekomsten av vissa antikroppar, närmare bestämt AAV9-antikroppar, kan leda till att ditt barn utvecklar ett immunsvär mot Zolgensma. Som en del av utredningen för att avgöra om Zolgensma är lämpligt för ditt barn kommer läkaren att utföra antikroppstestning före insättning av behandlingen.

Ditt barn kan ha förhöjda nivåer av AAV9-antikroppar. Om barnet är nyfött kan det vara antikroppar som har överförts från modern till barnet under graviditeten, och dessa förhöjda värden sjunker ofta successivt efter födseln. Om det första testet visar att ditt barn har förhöjda nivåer av AAV9-antikroppar kan en förnyad testning utföras efter en tid. Om du har några frågor, vänd dig till barnets läkare.



Blodprover

Innan behandling med Zolgensma tas blodprover för att kontrollera och fastställa baslinjevärden för:

- Leverfunktion
- Njurfunktion
- Antalet blodceller (inklusive röda blodkroppar och blodplättar)
- Troponin-I-nivå

Resultaten hjälper läkaren att bedöma barnets värden efter behandling med Zolgensma.



Kortikosteroider

24 timmar före behandlingen med Zolgensma får ditt barn kortikosteroider (prednisolon eller motsvarande) för att hantera en eventuell förhöjning av leverenzzymer.

Kortikosteroiddosen beräknas av läkaren baserat på barnets vikt. För att säkerställa att ditt barn inte missar kortikosteroiddosen, informera barnets läkare, sjuksköterska eller apotekspersonal/annan sjukvårdspersonal om barnet kräks innan Zolgensma-behandling.



Infektion

Det är viktigt att du omedelbart informerar barnets läkare, sjuksköterska eller apotekspersonal/annan sjukvårdspersonal om barnet uppvisar symtom som tyder på infektion före eller efter Zolgensma-behandling. Om ditt barn utvecklar något symtom eller tecken som tyder på infektion före behandling med Zolgensma kan infusionen behöva skjutas upp tills infektionen har läkt ut. Om ditt barn utvecklar symtom efter behandling med Zolgensma kan det leda till medicinska komplikationer som kan kräva akut läkarvård.

[Du kan läsa om tecken på en eventuell infektion på sidan 13.](#)



Allmänt hälsotillstånd

Innan behandlingen med Zolgensma är det viktigt att ditt barns allmänna hälsa är tillräcklig, annars kan behandlingen behöva skjutas upp. Detta inkluderar att vätske- och näringsstatusen är god och att barnet är fri från aktiva infektioner. Om du har några frågor om ditt barns allmänna hälsa före behandling med Zolgensma, tala med ditt barns läkare, sjuksköterska eller apotekspersonal/annan vårdpersonal.

2. Behandlingsdagen

Barnets vårdteam ser till att ni vet precis vad ni kan förvänta er på behandlingsdagen och hur ni förbereder er



Kortikosteroider

Ditt barn ska ha fått sin första dos kortikosteroider (prednisolon eller motsvarande) 24 timmar före behandling med Zolgensma. [Information om kortikosteroiddosering före behandling med Zolgensma finns på sidan 17.](#)

På behandlingsdagen får ditt barn sin andra orala kortikosteroiddos (prednisolon eller motsvarande) enligt ordination. Kortikosteroidmedicineringen är viktig för att hantera eventuella leverenzymökningar och kommer att fortsätta under en tid efter behandlingen. Information om kortikosteroiddosering efter behandling med Zolgensma finns på sidan 21.

För att säkerställa att ditt barn inte missar kortikosteroiddosen, informera barnets läkare, sjuksköterska eller apotekspersonal/annan sjukvårdspersonal om barnet kräks efter att ha fått kortikosteroider.



Zolgensma ges endast EN GÅNG till ditt barn



Zolgensmainfusion

Zolgensma ges till ditt barn som en intravenös engångsinfusion. Det innebär att en nål används för att föra in en kateter (plastslang) i en av barnets vener. En extra kateter förs in så att den finns till hands om den första blir blockerad. Infusionen utförs av en läkare eller sjuksköterska som är utbildad i behandling av SMA. Infusionen tar ungefär 60 minuter.

Zolgensma-dosen beräknas av läkaren baserat på barnets vikt.

3. Efter behandlingen

Läkaren avgör hur länge barnet behöver stanna kvar på sjukhuset efter behandlingen med Zolgensma. Du kan alltid tala med barnets vårdgivare om du har frågor.



Eventuella biverkningar

Liksom alla läkemedel kan detta läkemedel orsaka biverkningar, men alla användare behöver inte få dem.

KONTAKTA GENAST VÅRDTEAMET OM DITT BARN UPPVISAR NÅGON AV FÖLJANDE ALLVARLIGA BIVERKNINGAR ELLER SYMTOM



- **Blåmärken** eller **blödningar** som pågår längre än vanligt om barnet har gjort illa sig – detta kan vara tecken på ett minskat antal blodplättar (trombocytopeni).
- **Lätt att få blåmärken, får kramper** (anfall) eller **kissar mindre** – detta kan vara tecken på onormal koagulering av blodet i små blodkärl (trombotisk mikroangiopati). Extremt noggrann uppmärksamhet bör ägnas åt dessa tecken och symtom, eftersom onormal blodkoagulering kan vara livshotande om den inte behandlas.
- **Kräkning, gulsot** (när hud eller ögonvitor gulnar) eller **sänkt medvetandegrad** – detta kan vara tecken på leverproblem (inklusive leversvikt).
- **Blekgrå eller blå hy, andningssvårigheter** (t.ex. snabb andning, andfåddhet), **svullnad i armar och ben eller i magen** – dessa kan vara tecken på eventuella problem med hjärtat.
- **Hosta, pipande andning, nysningar, rinnande näsa, halsont** eller **feber** – detta kan vara tecken på infektion (t.ex. förkylning, influensa eller bronkiolit).

3. Efter behandlingen (forts.)

Kontakta barnets vårdteam snarast om ditt barn upplever några andra biverkningar. Dessa kan vara:

Mycket vanliga (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare)

- Förhöjda leverenzymen observeras genom blodprover

Vanliga (kan förekomma hos upp till 1 av 10 användare)

- Kräkningar
- Feber

Rapportering av biverkningar:

Om ditt barn får biverkningar eller om du är orolig för att något kan vara fel, tala omedelbart med barnets läkare, sjuksköterska eller apotekspersonal/ annan vårdpersonal.

Detta gäller även möjliga biverkningar oavsett om de nämns i denna guide eller i bipacksedeln.

Du kan också rapportera biverkningar direkt till Fimea (kontaktinformation på baksidan). Genom att rapportera biverkningar kan du bidra till att öka informationen om läkemedels säkerhet.



Kortikosteroider

Efter behandlingen med Zolgensma kommer ditt barn att behandlas med kortikosteroider varje dag i ungefär två månader. Denna period kan förlängas om ditt barns leverenzymvärden inte sjunker tillräckligt snabbt fram till dess att de når en godtagbar nivå. Den mängd kortikosteroider som barnet får kommer att reduceras långsamt under denna tid fram till den tidpunkt behandlingen kan avbrytas helt.

Det är barnets vårdteam som avgör när och hur behandlingen ska avbrytas. De förklarar också för dig hur de resonerar om detta.

För att säkerställa att ditt barn inte missar kortikosteroiddosen, informera barnets läkare, sjuksköterska eller apotekspersonal/ annan sjukvårdspersonal om barnet kräks eller har missat en eller flera doser (**oavsett skäl**) efter att ha behandlats med Zolgensma. [Sluta inte med kortikosteroidbehandlingen innan du har talat med ditt barns läkare, sjuksköterska eller apotekspersonal/annan sjukvårdspersonal.](#)

Om du har frågor om kortikosteroider, tala med ditt barns läkare, sjuksköterska eller apotekspersonal/annan sjukvårdspersonal.



3. Efter behandlingen (forts.)



Regelbundna uppföljningar

Efter behandling med Zolgensma kommer ditt barn att fortsätta att vara under regelbunden övervakning av ett särskilt vårdteam. Ditt barn kommer att kräva uppföljningsbesök vid behov, om dessa är för allmänna kontroller, om ditt barn upplever några biverkningar, eller om du har några problem eller frågor.

Lämplig vårdstandard för patienter med SMA, inklusive stödjande vård, är nödvändig och kommer att tillhandahållas. Det är viktigt att diskutera med ditt barns läkare hur vårdteamet fortsätter att stödja ditt barn.



Regelbundna blodprov

Efter behandling med Zolgensma kommer ditt barn att ta regelbundna blodprover för:

- Leverfunktion - dessa tester kommer att äga rum under minst 3 månader efter behandling för att övervaka ökning av leverenzym. Om ditt barns leverfunktion förvärras efter behandling med Zolgensma, eller om de visar några tecken på sjukdom, kommer barnet att omedelbart utvärderas och övervakas noggrant av sin läkare
- Blodplättar och troponin-I – dessa tester kommer att ske under en tidsperiod efter behandling för att övervaka förändringar i trombocyter och troponin-I-nivåer

Beroende på resultaten av dessa blodprov, liksom andra tecken och symtom, kan ytterligare testning krävas. Det är viktigt att noga följa blodprovsschemat och omedelbart rapportera till ditt barns medicinska team alla tecken och symtom som ditt barn kan utveckla efter att ha fått sin behandling.



Hantering av kroppens avfallsprodukter

En del av den aktiva substansen i Zolgensma följer med till kroppens avfallsprodukter efter behandlingen. Du och andra som vårdar barnet bör vara noga med handhygien och följa anvisningarna nedan i **minst en månad** efter att barnet har behandlats med Zolgensma.



Använd skyddshandskar vid all direktkontakt med barnets kroppsvätskor (urin) eller avfallsprodukter (avföring).



Tvätta händerna noga med tvål efteråt under rinnande varmvatten. Använd annars alkoholbaserad handdesinfektion.



Använd dubbla plastpåsar för blöjor och annat avfall. Engångsblöjor kan efter detta kastas i hushållssoporna.

Om du har frågor om hur du ska hantera barnets kroppsliga avfallsprodukter kan du vända dig till barnets läkare, sjuksköterska eller apotekspersonal/annan sjukvårdspersonal.

3. Efter behandlingen (forts.)

Understödjande vård

Zolgensma tillhandahåller visserligen en fullt fungerande kopia av SMN-genen, men ditt barn har fortfarande SMA.

Ytterligare understödjande behandlingar som används för att vårda personer med SMA är:



Ortopediska
behandlingar



Sjukgymnastik



Hjälp med näringstillförsel
samt att äta och dricka



Andningsstöd, t.ex.
med en sömnmask



Förebyggande av
luftvägsinfektioner (t.ex.
genom vaccination
mot influensa och
lunginflammation)



Avlägsna sekret
från luftvägarna

**Barnets vårdteam samarbetar med dig för
att se till att han eller hon får den understödjande
vård som behövs.**



När man ska söka läkarvård

Kontakta genast vården i följande situationer:



I vissa fall kan Zolgensma påverka leverns funktion vilket kan leda till leverskada. Tecken du behöver vara uppmärksam på när ditt barn har fått detta läkemedel är bland annat **kräkning, gulsot** (när hud eller ögonvitor gulnar) eller **sänkt medvetandegrad**.

Zolgensma kan minska antalet blodplättar (trombocytopeni). Tala med läkaren om du lägger märke till sådant som **blåmärken** eller **blödningar** som pågår längre än vanligt om barnet har gjort sig illa.

Zolgensma kan öka risken för onormal koagulering av blodet i små blodkärl (trombotisk mikroangiopati). Informera omedelbart läkaren om du uppmärksammar tecken och symtom som exempelvis att barnet **lätt får blåmärken, får kramper** (anfall) eller **kissar mindre**.

Zolgensma kan medföra förhöjda nivåer av ett hjärtprotein som kallas troponin-I och som kan tyda på skada på hjärtat. Kontakta omedelbart läkaren om du uppmärksammar tecken och symtom som exempelvis **blekgrå eller blå hy, andningssvårigheter** (t.ex. snabb andning, andfåddhet), **svullnad i armar och ben eller i magen**.

Berätta för läkaren om barnet **kräks** under kortikosteroidbehandlingen **före eller efter behandlingen** med Zolgensma, så att barnet inte missar någon kortikosteroiddos (prednisolon eller motsvarande).

Berätta omedelbart för läkaren om ditt barn visar tecken och symtom som tyder på infektion (t.ex. förkylning, influensa eller bronkiolit) före eller efter behandling med Zolgensma eftersom detta eventuellt kan leda till andra allvarigare komplikationer som kan kräva akut läkarvård. Tecken att vara uppmärksam på är **hosta, pipande andning, nysningar, rinnande näsa, halsont** eller feber.

Kontaktuppgifter till läkare

Ditt barn kommer att fortsätta att övervakas efter infusion av Zolgensma av ett team av hälso- och sjukvårdspersonal. Om du är orolig och vill prata med ditt barns läkare eller vårdteam, kan du använda formuläret nedan för att notera deras kontaktuppgifter.

Namn:

Roll:

Tel:

E-post:

Namn:

Roll:

Tel:

E-post:

Namn:

Roll:

Tel:

E-post:

Namn:

Roll:

Tel:

E-post:

Namn:

Roll:

Tel:

E-post:

Namn:

Roll:

Tel:

E-post:

Lokala organisationer



Det finns många patientorganisationer runt om i världen som kan hjälpa dig och ditt barn med SMA. De kan ge information om SMA, senaste forskningen, och samhällsstöd. Fråga ditt barns läkare eller vårdteam för mer information om lokala grupper.

Termer man bör känna till

Adenoassocierat virus 9 (AAV9)

Adenoassocierat virus 9 (AAV9) är en typ av virus. AAV9 kan modifieras så att det inte orsakar sjukdom hos människor. I Zolgensma används modifierat AAV9 som vektor för att leverera den fullt fungerande kopian av SMN-genen.

Antikroppar

Kroppens immunsystem producerar antikroppar som bidrar till att skydda mot sjukdomar. Varje typ av antikropp är unik och försvarar kroppen mot en viss typ av sjukdom.

Atrofi

Atrofi innebär att förtvina eller krympa. En förtvinande muskel kallas till exempel en atrofierad muskel.

Biverkning

En biverkning är en sekundär och oftast oönskad effekt av ett läkemedel.

Blodplättar

En typ av cell som finns i blodet, som är ansvarig för blodkoagulering.

Deoxiribonukleinsyra (DNA)

Deoxiribonukleinsyra – DNA – är arvmassan hos människor och i stort sett alla andra organismer. Nästan varenda cell i en människas kropp innehåller samma DNA.

Gener

Gener är uppsättningar med instruktioner som berättar för kroppen hur den ska tillverka proteiner. Gener är alltid ordnade i par, och den ena kopian får vi från mamma och den andra från pappa.

Genetisk sjukdom

Ett medicinskt tillstånd som orsakas av att en eller flera gener saknas eller är skadade. Genetiska sjukdomar är ärftliga. SMA är ett exempel på en genetisk sjukdom.

Genterapi

Genterapi är ett sätt att behandla en sjukdom eller förhindra sjukdomsförloppet med hjälp av gener. Det finns olika typer av genterapi som fungerar på olika sätt. Det kan handla om att ersätta eller reparera gener som saknas eller är skadade, att tillföra en ny gen som kan få ett annat läkemedel att fungera bättre, eller stoppa instruktionerna från en gen som producerar för mycket av ett protein som sedan skadar kroppen.

Hjärnstam

Hjärnstammen är den del av hjärnan som hanterar några av kroppens viktigaste funktioner, bland annat andning och sömn. Hjärnstammen är förbindelsen mellan ryggmärgen och övriga hjärnan.

Intravenös infusion

En intravenös infusion innebär att man tillför vätska i en ven med hjälp av en nål via en kateter (plastslang).

Kortikosteroider

Kortikosteroider är en typ av läkemedel som hämmar immunförsvaret, och som används för att försöka hantera eventuella ökningarna av leverenzymerna efter behandling med Zolgensma.

Motorneuron

Dessa speciella nerver transporterar signaler från hjärnan till musklerna för kontroll av rörelserna. Det finns två typer av motorneuroner – de övre motorneuronerna som skickar signaler från hjärnan till hjärnstammen och ryggmärgen och de nedre motorneuronerna som skickar signaler från de övre motorneuronerna till musklerna.

Prednisolon

Prednisolon är en kortikosteroid, en typ av läkemedel som bidrar till att hantera eventuella ökningarna av leverenzymerna efter behandling med Zolgensma.

Proteiner

Proteiner är viktiga molekyler som ingår i nästan varenda en av kroppens funktioner. Proteiner bidrar till att bygga upp kroppens celler och hjälper dem att transportera och producera viktiga ämnen, men proteinerna hjälper också till att reparera cellerna och se till att de överlever.

SMN1-genen

SMN1-genen är den primära SMN-gen som producerar det SMN-protein som motorneuronerna behöver för att kunna fungera som de ska. Båda kopiorna av denna gen är skadade eller saknas hos personer med SMA. Detta innebär att kroppens celler inte kan producera tillräckligt med SMN-protein.

SMN2-genen

SMN2-genen fungerar som en "reserv" för produktionen av SMN-protein. SMN2 producerar endast små mängder funktionellt SMN-protein.

Spinal muskelatrofi (SMA)

Spinal muskelatrofi (SMA) är en sällsynt sjukdom som gör att musklerna successivt försvagas eftersom motorneuronerna, speciella nervceller i kroppen som kontrollerar muskelrörelser, slutar att fungera. Motorneuronerna försämras och slutar till sist att fungera eftersom de inte har tillräckligt med SMN-protein.

Överlevnadsmotorneuronprotein (SMN-protein)

SMN-protein är nödvändigt för att motorneuronerna ska fungera och överleva. Om det inte finns tillräckligt med SMN-protein försämras motorneuronerna och slutar fungera. Det är kroppens SMN-gen som producerar SMN-proteinet.

Ytterligare information om detta läkemedel, inklusive BIPACKSEDELN, finns på Europeiska läkemedelsmyndighetens webbplats:

https://www.ema.europa.eu/sv/documents/product-information/zolgensma-epar-product-information_sv.pdf

Du kan rapportera biverkningar till Fimea:
Säkerhets- och utvecklingscentret för läkemedelsområdet Fimea,
Biverkningsregistret, PB 55, 00034 FIMEA.

www.fimea.fi

Du kan också rapportera biverkningar direkt till innehavaren av försäljningstillståndet:
Novartis Finland Oy, Skogsjungfrugränden 10, 02130 Esbo, Finland
Tel. 010 6133 200,

www.novartis.fi

Denna guide har tagits fram av Novartis Europharm Limited. Informationen är endast avsedd att användas i utbildningssyfte och är inte avsedd att ersätta samtal med läkare eller vårdteam. Informationen gäller spinal muskelatrofi och är avsedd att ge en allmän översikt.

FA-11274064_23092024

Novartis Finland Oy
Skogsjungfrugränden 10, 02130 Esbo
Tel. 010 6133 200
www.novartis.fi

© 2024 Novartis Europharm Limited. All rights reserved.

 NOVARTIS

 **zolgensma**[®]
(onasemnogen-
abeparvovek)