Indlægsseddel: Information til brugeren

Zolgensma® 2 x 10^{13} vektorgenomer/ml infusionsvæske, opløsning
onasemnogene abeparvovec

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

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

Se den nyeste indlægsseddel på www.indlaegsseddel.dk.

Oversigt over indlægssedlen

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

1. Virkning og anvendelse

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

Hvad bruges Zolgensma til?
Zolgensma bruges til at behandle spinal muskelatrofi (SMA), en sjælden og alvorlig, nedarvet sygdom.

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

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

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

Brug IKKE Zolgensma
- hvis dit barn er allergisk over for onasemnogene abeparvovec eller et af de øvrige indholdsstoffer i dette lægemiddel (angivet i afsnit 6).

Advarsler og forsigtighedsregler
Dit barns læge vil undersøge for antistoffer inden behandlingen for at kunne beslutte, om dette lægemiddel er egnet til dit barn.

Infusionsrelaterede reaktioner og alvorlige allergiske reaktioner
Infusionsrelaterede bivirkninger og alvorlige allergiske reaktioner kan forekomme under og/eller kort tid efter, at dit barn har fået Zolgensma. Du skal holde øje med mulige tegn, herunder kløende udslæt, bleg hud, opkastning, hævelse af ansigt, læber, mund eller hals (som kan forårsage synke- eller vejrtrækningsbesvær) og/eller ændringer i puls og blodtryk. Fortæl det straks til dit barns læge eller sygeplejerske, hvis du bemærker, at dit barn udvikler disse eller andre nye tegn eller symptomer under, og/eller kort tid efter behandling med Zolgensma. Før dit barn udskrives, vil lægen give dig information om, hvad man skal gøre, hvis dit barn oplever nye bivirkninger eller bivirkninger, som kommer tilbage, efter I har forladt hospitalet.

Leverproblemer
Fortæl det til dit barns læge eller sygeplejerske, inden barnet får dette lægemiddel, hvis barnet har haft leverproblemer. Dette lægemiddel kan føre til en stigning i enzymer (proteiner, som findes i kroppen), der produceres af leveren, eller til leverskader. Leverskader kan få alvorlige udfald, herunder leversvigt og død. De symptomer, som du skal holde øje med, efter at dit barn har fået denne medicin, omfatter: Opkastning, gulsot (huden og det hvide i øjnene bliver gulligt), eller nedsat opmærksomhed (se afsnit 4 for yderligere information). Fortæl det straks til dit barns læge, hvis du bemærker, at dit barn udvikler symptomer, der kan tyde på leverskade.

Dit barn vil få taget en blodprøve for at kontrollere hvor godt leveren fungerer, inden behandling med Zolgensma går i gang. Dit barn vil også regelmæssigt få taget blodprøver i mindst 3 måneder efter behandlingen for at holde øje med eventuelle stigninger i leverenzymer.

Infektion
En infektion (fx en forkølelse, influenza eller bronchiolitis) før eller efter behandling med Zolgensma, kan føre til mere alvorlige komplikationer. Omsorgs- og tætte kontaktpersoner med patienten bør følge infektionsforebyggende praksis (fx håndhygiejne, hoste/nys-etikette, begrænsning af mulige kontakter). Du skal holde øje med tegn på en infektion så som hoste, hvæsende vejrtrækning, nysen, løbende næse, ømhed i halsen eller feber. Fortæl det straks til dit barns læge, hvis du bemærker symptomer hos barnet, der kan tyde på infektion **før** og **efter** behandling med Zolgensma.

Regelmæssige blodprøver
Dette lægemiddel kan sænke antallet af blodplader (trombocytopeni). Du skal holde øje med mulige tegn på et lavt antal blodplader efter at dit barn har fået Zolgensma, så som unormale blå mærker eller blødning (se afsnit 4 for mere information). De fleste af de indberettede tilfælde af lavt antal blodplader opstod inden for de tre første uger efter, at barnet fik Zolgensma.

Inden behandling med Zolgensma starter, vil dit barn få taget en blodprøve for at kontrollere antallet af blodlegemer (herunder røde blodlegemer og blodplader) samt troponin-I-niveauet i kroppen. Barnet vil også få taget en blodprøve for at kontrollere kreatinin-niveauet, hvilket er en indikator for, hvor godt nyrerne fungerer. Barnet vil også regelmæssigt få taget blodprøver i et stykke tid efter behandlingen for at holde øje med eventuelle ændringer i niveauerne af blodplader.

Forhøjede niveauer af troponin-I (et hjerteprotein)
Zolgensma kan forhøje niveauerne af et hjerteprotein, der kaldes for ”troponin-I”. Dette kan ses i laboratorieanalyser, som dit barns læge vil udføre efter behov.

Unormal størkning af blod (blodprop) i små blodårer (trombotisk mikroangiopati)
Der har været tilfælde af patienter, der udviklede trombotisk mikroangiopati generelt indenfor de første to uger efter Zolgensma-behandling. Trombotisk mikroangiopati er ledsaget af et fald i røde blodlegemer og de celler, der er involveret i blodets størkning (blodplader) og kan være livsfarlig. Disse blodpropper kan påvirke dit barns nyrer. Lægen vil muligvis undersøge dit barns blod (blodpladetal) og blodtryk. Mulige tegn, som du bør være opmærksom på, efter dit barn har fået Zolgensma inkluderer; barnet har let ved at få blå mærker, anfald (kramper) eller nedsat vandladning (se afsnit 4 for mere information). Søg straks lægehjælp, hvis dit barn får nogen af disse tegn.

Blod-, organ-, vævs- og celledonation
Når dit barn er blevet behandlet med Zolgensma, vil det ikke være i stand til at donere blod, organer, væv eller celler. Dette skyldes at Zolgensma er et genterapi-lægemiddel.

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

Prednisolon
Dit barn vil også få et kortikosteroid-lægemiddel, så som "prednisolon", i omkring 2 måneder eller længere (se også afsnit 3) som en del af behandlingen med Zolgensma. 'Kortikosteroid'-lægemidlet vil hjælpe med at håndtere en stigning i leverenzymer, som dit barn kan udvikle efter at have fået Zolgensma.

Vaccinationer
Da kortikosteroider kan påvirke kroppens immunsystem (kroppens forsvar), **vil dit barns læge muligvis beslutte at udsætte nogle vaccinationer**, mens dit barn får behandling med kortikosteroider. Spørg barnets læge eller sygeplejersken, hvis der er noget, du er i tvivl om.

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

Ekstra information til forældre/omsorgsperson

Fremskreden SMA
Zolgensma kan redde levende motorneuroner, men redder ikke døde motorneuroner. Børn med mindre alvorlige symptomer på SMA (for eksempel mangel på reflekser eller nedsat muskeltonus) kan have nok levende motorneuroner til at opnå en signifikant fordel af behandling med Zolgensma. Zolgensma virker muligvis ikke så godt hos børn med svær muskelsvækkelse, lammelse eller vejrtrækningsproblemer, eller som ikke kan synke, eller hos børn, der har en markant misdannelse (for eksempel hjertefejl), herunder patienter med SMA type 0, da der kan være begrænset potentiel forbedring efter behandling med Zolgensma. Dit barns læge vil beslutte, om barnet skal have dette lægemiddel.

Risiko for tumorer forbundet med potentiel indførelse i DNA
Der er en mulighed for, at behandlinger som Zolgensma kan trænge ind i DNA'et i humane celler. Som konsekvens kan Zolgensma bidrage til en risiko for tumorer på grund af lægemidlets natur. Dette bør du tale om med barnets læge. I tilfælde af en tumor kan barnets læge tage en prøve til yderligere vurdering.

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

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

3. Sådan gives Zolgensma

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

Barnets læge vil beregne, hvilken mængde Zolgensma barnet skal have, ud fra barnets vægt. Zolgensma gives intravenøst (i en blodåre) som en enkelt infusion (drop) i et tidsrum på cirka 1 time.

Dit barn vil kun få Zolgensma ÉN gang.

Dit barn vil også få prednisolon (eller et andet kortikosteroid) gennem munden, der starter 24 timer inden behandlingen med Zolgensma. Dosis af kortikosteroidet vil også afhænge af barnets vægt. Dit barns læge vil beregne den samlede dosis, som skal gives.

Dit barn vil få behandling med et kortikosteroid dagligt i cirka 2 måneder efter doseringen med Zolgensma, eller indtil dit barns niveau af leverenzymer falder til et acceptabelt niveau. Lægen vil langsomt reducere dosis af kortikosteroid indtil behandlingen kan ophøre helt.

Spørg barnets læge eller sygeplejersken, hvis du har spørgsmål.

4. Bivirkninger

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

Søg straks læge, hvis dit barn får en eller flere af følgende alvorlige bivirkninger:

Almindelig (kan ramme op til 1 ud af 10 personer):
- blå mærker eller blødning i længere tid end normalt, hvis barnet er kommet til skade - det kan være tegn på et lavt niveau af blodplader

Ikke almindelig (kan ramme op til 1 ud af 100 personer)
- opkastning, gulsot (huden og det hvide i øjnene bliver gulligt) eller nedsat opmærksomhed - disse symptomer kan være tegn på leverskade (herunder leversvigt).
- let får blå mærker, anfald (kramper), nedsat vandladning - disse kan være tegn på trombotisk mikroangiopati (unormal størkning af blod (blodprop) i små blodårer).
- infusionsrelaterede reaktioner (se afsnit 2, ”Advarsler og forsigtighedsregler”).

Sjælden (kan ramme op til 1 ud af 1.000 personer)
- alvorlige allergiske reaktioner (se afsnit 2, ”Advarsler og forsigtighedsregler”).

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

Meget almindelig (kan ramme mere end 1 ud af 10 personer)
- stigninger i leverenzymer, som kan påvises i blodprøver

Almindelig (kan ramme op til 1 ud af 10 personer):
- opkastning
- feber
- forhøjet troponin-I (et hjerteprotein) set i blodprøver

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

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

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

5. Opbevaring

Opbevar lægemidlet utilgængeligt for børn.

Nedenstående oplysninger er til sundhedspersonale, som vil forberede og give lægemidlet.

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

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

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

Lægemidlet indeholder genmodificerede organismer. Ubrugt lægemiddel eller rester skal bortskaffes i henhold den lokale guideline for håndtering af biologisk affald. Da dette lægemiddel administreres af lægen, er lægen ansvarlig for korrekt bortskaffelse af lægemidlet. Disse tiltag vil hjælpe med at beskytte miljøet.

6. Pakningsstørrelser og yderligere oplysninger

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

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

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

Hver karton indeholder mellem 2 og 14 hætteglas.

Indehaver af markedsføringstilladelsen
Novartis Europharm Limited
Vista Building
Elm Park, Merrion Road
Dublin 4
Irland

Fremstiller
Novartis Pharmaceutical Manufacturing GmbH
Biochemiestraße 10
6336 Langkampfen
Østrig

Hvis du ønsker yderligere oplysninger om dette lægemiddel, skal du henvende dig til den lokale repræsentant for indehaveren af markedsføringstilladelsen:

Danmark
Novartis Healthcare A/S
Tlf.: +45 39 16 84 00

Denne indlægsseddel blev senest ændret 03/2025

Andre informationskilder

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

Nedenstående oplysninger er til læger og sundhedspersonale:

Vigtigt: Læs produktresuméet inden anvendelse.

Hvert hætteglas er kun til engangsbrug.

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

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

Utilsigtet eksponering
Utilsigtet eksponering for onasemnogene abeparvovec skal undgås.

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

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

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

Zolgensma må ikke anvendes, medmindre det er optøet.

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

Zolgensma svinges forsigtigt rundt efter optøning. Må IKKE omrystes.

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

Efter optøning skal Zolgensma administreres hurtigst muligt.

Administration
Zolgensma må kun gives ÉN gang til patienterne.

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

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

Zolgensma skal administreres med sprøjtepumpen som en enkelt langsomintravenøs infusion i cirka 60 minutter. Det må kun administreres som en intravenøs infusion. Det må ikke administreres som en hurtig intravenøs injektion eller bolus. Slangen skal skylles med natriumchlorid 9 mg/ml (0,9 %) injektionsvæske, opløsning, når infusionen er færdig.

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

Der kan forekomme midlertidig udskillelse af Zolgensma, fortrinsvis gennem kroppens affaldsstoffer. Omsorgspersoner og patientens familie skal informeres om følgende instruktioner til korrekt håndtering af patientens kropsvæsker og affaldsstoffer:
- God håndhygiejne (brug af beskyttelseshandsker og grundig vask af hænderne med sæbe og rindende varmt vand eller spritbaseret hånddesinfektionsmiddel bagefter) er påkrævet i tilfælde af direkte kontakt med patientens kropsvæsker og affaldsstoffer. Dette gør sig gældende i mindst 1 måned efter behandling med Zolgensma.
- Engangsbleer skal forsegles i dobbelte plastposer og kan kasseres sammen med husholdningsaffaldet.