

# Príručka pre zdravotníckych pracovníkov

## Príručka pre zdravotníckych pracovníkov na minimalizáciu rizík pri liečbe liekom Zolgensma® (▼) (onasemnogén abeparvovek)

Táto príručka je určená pre zdravotníckych pracovníkov, u ktorých sa predpokladá, že budú predpisovať, vydávať alebo podávať liek Zolgensma. Obsahuje poučenia o bezpečnosti lieku súvisiace s hepatotoxicitou a trombotickou mikroangiopatiou po podaní Zolgensmy® (▼) a na zmiernenie možných rizík pred, počas a po liečbe. Odporúča sa prečítať si príručku spolu so Súhrnom charakteristických vlastností lieku (SPC).

### ZOLGENSMA je indikovaná na liečbu:

- pacientov s 5q spinálnou muskulárnou atrofiou (SMA) s bialelickou mutáciou v géne *SMN1* a klinicky diagnostikovanou SMA 1. typu,
- pacientov s 5q SMA s bialelickou mutáciou v géne *SMN1* a až do 3 kópií génu *SMN2*.

Liečba Zolgensmou sa musí podávať v klinických centrách a na liečbu má dohliadať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou pacientov s SMA.

▼ Tento liek je predmetom ďalšieho monitorovania. To umožní rýchle získanie nových informácií o bezpečnosti. Od zdravotníckych pracovníkov sa vyžaduje, aby hlásili akékoľvek podozrenia na nežiaduce reakcie.

**Ak máte akékoľvek otázky alebo obavy súvisiace s liekom Zolgensma, obráťte sa na zástupcu spoločnosti Novartis.**



Ďakujeme, že ste si našli čas na oboznámenie sa s obsahom tejto príručky.

**Informácie o bezpečnosti lieku obsiahnuté v príručke majú pomôcť zmierniť možné riziká pred začiatkom liečby Zolgensmou, v čase podania infúzie a po podaní infúzie. Zamerané sú na tieto rizikové oblasti:**

- **Hepatotoxicita**
- **Trombotická mikroangiopatia**

Ak máte akékoľvek otázky alebo obavy týkajúce sa tohto lieku, prečítajte si SPC alebo sa porozprávajte so zástupcom spoločnosti Novartis.

### **Užitočné kontakty:**

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

# Čo v príručke nájdete?

<b>Možné riziká pri liečbe Zolgensmou</b>	4
• Hepatotoxicita	4
• Trombotická mikroangiopatia	4
<b>Zmiernenie možných rizík pri liečbe Zolgensmou</b>	6
• Pred začiatkom liečby	6
• Počas infúzie	10
• Po infúzii & monitoring	13
<b>Pravidelné krvné testy</b>	16
<b>Súhrnný kontrolný zoznam</b>	19

## Možné riziká pri liečbe Zolgensmou

### Dôležité informácie o bezpečnosti

Toto sú dôležité identifikované riziká po liečbe Zolgensmou. Podrobné informácie o bezpečnosti a účinnosti lieku, ako aj upozornenia a opatrenia pri používaní nájdete v SPC lieku Zolgensma.



### Hepatotoxicita

Imunitne sprostredkovaná hepatotoxicita po liečbe Zolgensmou sa vo všeobecnosti prejavuje zvýšenými hladinami alanínaminotransferázy (ALT) a/alebo aspartátaminotransferázy (AST).

Po liečbe Zolgensmou bolo hlásené akútne závažné poškodenie pečene a akútne zlyhanie pečene vrátane prípadov úmrtí. Vyskytujú sa zvyčajne do 2 mesiacov po liečbe a to aj napriek podávaniu kortikosteroidov pred a po infúzii.

Hepatotoxicita môže vyžadovať úpravu imunomodulačného režimu vrátane dlhšieho trvania, zvýšenej dávky alebo predĺženia času znižovania dávky kortikosteroidov.



### Trombotická mikroangiopatia

Zolgensma môže zvýšiť riziko trombotickej mikroangiopatie (TMA), zvyčajne počas prvých dvoch týždňov po liečbe.

TMA je akútne a život ohrozujúce ochorenie, charakterizované trombocytopéniou, mikroangiopatickou hemolytickou anémiou a akútnym poškodením pečene. Pri liečbe Zolgensmou sa vyskytli aj prípady úmrtí. Ako možný spúšťač bola hlásená súbežná aktivácia imunitného systému (napr. infekciou alebo očkovaním).

Ak pacienti vykazujú klinické prejavy, príznaky alebo laboratórne nálezy zodpovedajúce TMA, je potrebné okamžite kontaktovať špecialistu na liečbu TMA.

**V SPC, v časti 4. 4, nájdete ďalšie upozornenia a potrebné opatrenia pri liečbe Zolgensmou.**





**Dodatočné upozornenia a opatrenia súvisiace s liečbou Zolgensmou zahŕňajú, ale neobmedzujú sa len na:**

**Trombocytopénii**

- V klinických štúdiách sa po podaní Zolgensmy zistil prechodný pokles počtu trombocytov, pričom niektoré spĺňali kritéria pre trombocytopéniu

**Troponín I**

- Po podaní Zolgensmy sa zistila zvýšená hladina srdcového proteínu troponín I.

**Majte na pamäti, že dodatočné upozornenia a opatrenia súvisiace s liekom Zolgensma sa neobmedzujú len na to, čo je uvedené v tejto príručke. Úplné informácie o bezpečnosti tohto lieku nájdete v SPC.**

# Zmiernenie možných rizík pri liečbe Zolgensmou

## 1. Pred začiatkom liečby

Informujte opatrovateľov o hlavných rizikách spojených s liečbou Zolgensmou a o ich prejavoch a príznakoch vrátane, ale nie výlučne, trombotickej mikroangiopatie, zlyhania pečene a trombocytopenie.



### Krvné testy

Po prirodzenej expozícii môže dôjsť k tvorbe protilátok proti adeno-asociovanému vírusu serotypu 9 (AAV9).

**Pred liečbou musia byť pacienti vyšetrení na prítomnosť protilátok proti AAV9 pomocou validovaného testu**

Zatiaľ nie je známe, či alebo za akých podmienok sa môže Zolgensma bezpečne a účinne podať, ak je titer protilátok proti AAV9 vyšší ako 1:50. Ak je titer protilátok vyšší ako 1:50, musí sa vykonať opakované testovanie.

Pred podaním Zolgensmy sa vyžaduje aj, ale nie výlučne, vstupné laboratórne vyšetrenie:

- Funkcie pečene – ALT, AST, celkový bilirubín, albumín, protrombínový čas, parciálny trombotoplastínový čas (PTT), a medzinárodný normalizovaný pomer (INR)
- Kreatinínu
- Celkového krvného obrazu (vrátane hemoglobínu a počtu krvných doštičiek)
- Troponínu I

Pravidelné krvné testy sa vyžadujú minimálne 3 mesiace po podaní Zolgensmy. Podrobnejší harmonogram krvných testov nájdete na stranách 16 až 18 tejto príručky.

## Informujte opatrovateľov o potrebe pravidelných odberov krvi

Opatrovatelia musia byť poučení, že vykonanie krvných testov je potrebné minimálne 3 mesiace po liečbe Zolgensmou. Pre čo najlepšie výsledky pacienta je dôležité dodržať harmonogram krvných testov. Jednotlivé dátumy odberov krvi je potrebné dohodnúť pred začatím liečby.

## Podávanie kortikosteroidov

Po podaní Zolgensmy sa prejaví imunitná odpoveď na kapsid AAV9, ktorá môže viesť k:



zvýšeniu pečeňových  
transamináz



zvýšeniu troponínu I



zníženiu počtu  
krvných doštičiek

Na zníženie imunitnej odpovede sa odporúča imunomodulácia kortikosteroidmi.



**24 hodín pred podaním Zolgensmy sa odporúča začať s podávaním kortikosteroidov.** Odporúča sa nasledujúca počiatková preskripcia:

**Prednizolón perorálne 1 mg/kg/deň (alebo ekvivalent, ak sa použije iný kortikosteroid)**

## Informujte opatrovateľov o dôležitosti liečby kortikosteroidmi.

Vyžadujte od opatrovateľov, aby vás neodkladne informovali, ak dôjde k vracaniu, aby sa zabezpečilo, že pacient nevynechá ani jednu dávku kortikosteroidu.

# Zmiernenie možných rizík pri liečbe Zolgensmou

## 1. Pred začiatkom liečby (pokračovanie)

Ak pacienti kedykoľvek adekvátne nereagujú na ekvivalent 1 mg/kg/deň perorálneho prednizolónu, je potrebné, podľa pacientovho klinického priebehu, zvážiť okamžitú konzultáciu s pediatrickým gastroenterológom alebo hepatológom a úpravu odporúčaného imunomodulačného režimu vrátane zvýšenia dávky, dlhšieho užívania alebo predĺženia času znižovania dávky kortikosteroidu.



### Celkové zdravie

Kvôli zvýšenému riziku závažnej systémovej imunitnej reakcie sa odporúča, aby bol celkový zdravotný stav pacientov klinicky stabilizovaný vrátane hydratácie, výživy a neprítomnosti infekcie.

### Informujte opatrovateľov o potrebe zvýšenej ostražiteľnosti pri prevencii, monitorovaní a liečbe infekcií pred a po podaní Zolgensmy

Opatrovateľ má:

- Byť informovaný o prejavoch a príznakoch infekcií. Okamžite má kontaktovať lekára, ak sa u pacienta objavia akékoľvek prejavy a príznaky.
- Pomáhať predchádzať infekciám vyhýbaním sa situáciám, ktoré môžu zvýšiť riziko nakazenia pacienta infekciou, napr. dodržiavaním správnej hygieny rúk, etikety pri kašľaní/kýchaní a obmedzovaním potenciálnych kontaktov.



**V prípade akútnych alebo chronicky nekontrolovaných aktívnych infekcií sa liečba musí odložiť, až kým sa infekcia nevylieči a pacient nie je klinicky stabilizovaný.**



### Harmonogram očkovaní

Pred začiatkom liečby je potrebné vyhodnotiť pacientov harmonogram očkovaní.

Kde je to možné, treba harmonogram očkovaní upraviť, aby sa umožnilo súbežné podávanie kortikosteroidov pred a po podaní infúzií Zolgensmy.

Odporúča sa aktuálna sezónna profylaktická liečba, ktorá zabráni infekciám spôsobeným respiračným syncyciálnym vírusom (RSV). Pacientom na imunosupresívnej dávke steroidov sa nemajú podávať živé vakcíny ako osýpky, mumps a rubeola (MMR) a ovčie kiahne.



### Telesná hmotnosť

Pacienti dostanú nominálnu dávku Zolgensmy  $1,1 \times 10^{14}$  vg/kg. Celkový objem Zolgensmy, ktorý pacient dostane, sa určí podľa jeho telesnej hmotnosti. Pred liečbou je potrebné pacienta odvážiť, aby bolo isté, že dostane správnu dávku.

## 2. Počas infúzie



### Celkové zdravie

**Skontrolujte, či je celkový zdravotný stav pacienta vhodný na podanie infúzie (napr. vyliečená infekcia), alebo či sa odporúča jej odklad.**

S liečbou sa nesmie začať počas aktívnych infekcií, akútnych (ako sú akútne respiračné infekcie alebo akútna hepatitída) ani nekontrolovaných chronických (ako je chronická aktívna hepatitída B), až do ich vyliečenia. Ak má pacient prejavy alebo príznaky infekcie, liečba sa musí odložiť.

**V prípade akútnych alebo chronických nekontrolovaných aktívnych infekcií sa liečba musí odložiť až do vyliečenia infekcie a až kým pacient nie je klinicky stabilizovaný.**



### Telesná hmotnosť pacienta

Dávka Zolgensmy závisí od telesnej hmotnosti.

Ak je časový odstup medzi objednaním Zolgensmy a podaním infúzie, je potrebné pacienta znova odvážiť, aby sa stanovila presná dávka Zolgensmy.

**Ak po objednaní dávky Zolgensmy zistíte (alebo predpokladáte) zmenu v telesnej hmotnosti pacienta, ihneď kontaktujte zástupcu spoločnosti Novartis.**





## Dávkovanie kortikosteroidov

**Skontrolujte, či sa začalo s liečbou kortikosteroidmi 24 hodín pred podaním infúzie Zolgensmy.**

Na zníženie imunitnej odpovede mal pacient začať s imunomodulačným režimom kortikosteroidmi, pričom prvú dávku mal dostať 24 hodín pred liečbou Zolgensmou. V deň liečby

Zolgensmou má pacient v režime pokračovať a dostať nasledujúcu dávku kortikosteroidu:

**Prednizolón perorálne 1 mg/kg/deň (alebo ekvivalent, ak sa použije iný kortikosteroid).**

S imunomodulačným režimom sa má pokračovať počas 28 dní nasledujúcich po podaní infúzie Zolgensmy. Informácie o dávkovaní kortikosteroidu po podaní infúzie nájdete na strane 13.

**Ak pacient kedykoľvek adekvátne nereaguje na ekvivalent 1 mg/kg/deň perorálneho prednizolónu, je potrebné, podľa pacientovho klinického priebehu, zvážiť okamžitú konzultáciu s pediatrickým gastroenterológom alebo hepatológom a úpravu odporúčaného imunomodulačného režimu vrátane zvýšenia dávky, dlhšieho užívania alebo predĺženia času znižovania dávky kortikosteroidu.**



# Zmiernenie možných rizík pri liečbe Zolgensmou

## 2. Počas infúzie (pokračovanie)



### Infúzia Zolgensmy

Zolgensma je určená iba na jednorazovú intravenóznú infúziu.

Podáva sa pomocou striekačkovej (injekčnej) pumpy ako jedna pomalá infúzia v trvaní približne 60 minút. Odporúča sa zavedenie sekundárneho „záložného“ katétra.

Podáva sa len ako intravenózna infúzia. **Nepodáva sa formou intravenózne pretlakovej ani bolusovej injekcie.**

Po skončení infúzie je potrebné infúznú linku prepláchnuť injekčným roztokom chloridu sodného.

**Dôležité informácie o dávkovaní a podaní Zolgensmy nájdete v Súhrne charakteristických vlastností lieku v časti 4. 2.**



**Liek Zolgensma obsahuje geneticky modifikované organizmy. Pri manipulácii alebo podávaní tohto lieku sa preto musia dodržiavať príslušné preventívne opatrenia.**

Podrobné pokyny na prípravu, zaobchádzanie, náhodnú expozíciu a likvidáciu Zolgensmy (vrátane správneho zaobchádzania s telesným odpadom) nájdete v SPC.

## 3. Po infúzii

### Dávkovanie kortikosteroidov po podaní Zolgensmy

Liečba kortikosteroidmi má pokračovať najmenej 2 mesiace a dávka sa nesmie znižovať, pokiaľ nie sú hladiny AST/ALT nižšie ako  $2 \times \text{ULN}$  a kým sa hodnoty všetkých vyšetrení, napr. celkový bilirubín, nevrátia do normálneho rozsahu.

Toto obdobie sa môže predĺžiť, ak hladiny pečeňových enzýmov neklesajú dostatočne rýchlo a kým neklesnú na prijateľnú hladinu. Následne sa dávka kortikosteroidu podávaná pacientovi pomaly znižuje, až do úplného ukončenia liečby.



**Prednizolón 1 mg/kg/deň (alebo ekvivalent, ak sa použije iný kortikosteroid) sa podáva perorálne počas 28 dní po podaní Zolgensmy.** Po skončení celého 30-dňového obdobia režimu kortikosteroidov (pred aj po podaní infúzie) sa pacientom kontroluje funkcia pečene.



**U pacientov bez významných zistení (klinické vyšetrenie a celkový bilirubín v norme a hodnoty ALT a AST obe pod  $2 \times \text{ULN}$  na konci celého 30-dňového obdobia):**

Dávka prednizolónu (alebo ekvivalentu) sa počas 28 dní postupne znižuje.

- Napríklad: 2 týždne 0,5 mg/kg/deň a potom 2 týždne 0,25 mg/kg/deň perorálneho prednizolónu.



**U pacientov s abnormalitami funkcie pečene na konci celkového 30-dňového obdobia:**

Pokračuje sa s podávaním prednizolónu, kým hodnoty AST a ALT nie sú pod  $2 \times \text{ULN}$  a kým sa hodnoty všetkých ostatných vyšetrení nevrátia do normálneho rozsahu, potom sa dávka znižuje počas 28 dní alebo dlhšie, podľa potreby.

**Ak pacienti nereagujú adekvátne na ekvivalent 1 mg/kg/ deň perorálneho prednizolónu, je potrebná konzultácia s pediatrickým gastroenterológom alebo hepatológom. Ak nie je tolerovaná perorálna liečba kortikosteroidmi, treba zvážiť intravenózne kortikosteroidy podľa klinickej indikácie.**

# Zmiernenie možných rizík pri liečbe Zolgensmou

## 3. Po infúzii (pokračovanie)

### Pravidelné krvné testy

Individuálny priebeh liečby pacienta sa dôkladne a pravidelne monitoruje (klinické a laboratórne vyšetrenia) najmenej počas 3 mesiacov po podaní infúzie Zolgensmy.



**Funkcia pečene (ALT, AST, celkový bilirubín) sa monitoruje v pravidelných intervaloch najmenej 3 mesiace po podaní infúzie Zolgensmy.**

Kontrolné testy sa robia:

- raz týždenne počas prvého mesiaca a počas celého obdobia znižovania dávky kortikosteroidu
- každé 2 týždne počas nasledujúceho mesiaca alebo podľa klinickej indikácie

Pacienti so zhoršenými testami funkcie pečene a/alebo prejavmi či príznakmi akútneho ochorenia musia byť okamžite vyšetrení a dôsledne monitorovaní.

**Ak pacienti nereagujú na liečbu kortikosteroidmi alebo pri podozrení na poškodenie pečene je potrebná konzultácia s pediatrickým gastroenterológom alebo hepatológom.**



**Počet krvných doštičiek sa musí dôsledne monitorovať počas prvých 2 týždňov po podaní infúzie a potom v pravidelných intervaloch.**

Po liečbe Zolgensmou sa počet krvných doštičiek monitoruje:

- najmenej raz týždenne počas prvého mesiaca
- každý druhý týždeň počas druhého a tretieho mesiaca, až kým počet krvných doštičiek nedosiahne vstupnú (východiskovú) hodnotu

**Podozrenie na TMA je potrebné konzultovať so špecialistom.**



**Hladiny troponínu I sa musia sledovať najmenej 3 mesiace po podaní infúzie Zolgensmy, alebo až kým sa jeho hladina nevráti do normálneho referenčného rozsahu pre pacientov so SMA.**

Podľa potreby sa odporúča konzultácia s kardiológom.



## Dočasné vylučovanie

Minimálne 1 mesiac po liečbe Zolgensmou môže dochádzať k jej dočasnému vylučovaniu, najmä telesným odpadom.

**Informujte opatrovateľov o správnom postupe pri likvidácii telesného odpadu, ktorý je potrebné dodržiavať minimálne 1 mesiac po liečbe dieťaťa Zolgensmou.**



**Pri kontakte s telesnými tekutinami** a stolicou používajte ochranné rukavice.



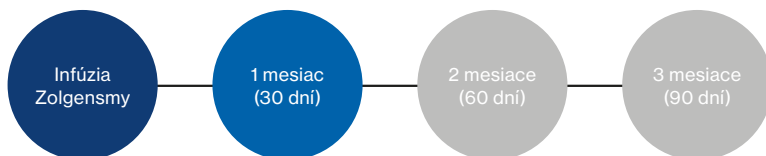
**Následne si dôkladne umyte ruky** mydlom pod tečúcou teplou vodou alebo dezinfekčným prostriedkom na báze alkoholu.



**Použitú plienku a iný odpad** dávajte do dvojitého vrecu na odpad. Jednorazové plienky sa môžu likvidovať v zmiešanom domovom odpade.

# Harmonogram krvných testov:

## 1. mesiac po liečbe Zolgensmou (30 dní)



### Krvné testy

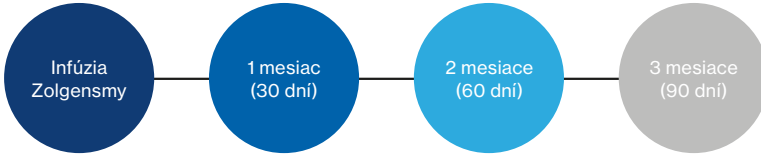
Počas prvého mesiaca po liečbe Zolgensmou sa pacienti **raz týždenne** robia **krvné testy** na kontrolu **funkcie pečene a počtu krvných doštičiek**. **Hladina troponínu I** sa monitoruje najmenej 3 mesiace, alebo až kým sa nevráti do normálneho referenčného rozsahu pre pacientov s SMA. Tabuľku môžete použiť ako pomôcku na vytvorenie harmonogramu krvných testov.

Týždne po liečbe Zolgensmou	Krvné testy
<b>Kontrola hladiny troponínu I, ak sa jeho hladina nevrátila do normálneho referenčného rozsahu pre pacientov s SMA.</b>	
<b>1. týždeň</b>	Na kontrolu funkcie pečene Na kontrolu počtu krvných doštičiek
<b>2. týždeň</b>	Na kontrolu funkcie pečene Na kontrolu počtu krvných doštičiek
<b>3. týždeň</b>	Na kontrolu funkcie pečene Na kontrolu počtu krvných doštičiek
<b>4. týždeň</b>	Na kontrolu funkcie pečene Na kontrolu počtu krvných doštičiek



# Harmonogram krvných testov:

## 2. mesiac po liečbe Zolgensmou (60 dní)

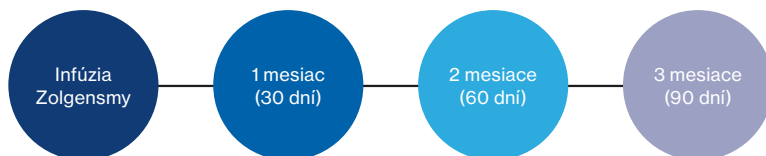


### Krvné testy

Počas druhého mesiaca po liečbe Zolgensmou sa pacienti **raz týždenne** robia krvné testy na kontrolu **funkcie pečene. Počet krvných doštičiek sa monitoruje každý druhý týždeň**, až kým ich počet nedosahuje východiskové hodnoty. **Hladina troponínu I** sa monitoruje najmenej 3 mesiace alebo dovtedy, kým sa nevráti do normálneho referenčného rozsahu pre pacientov s SMA. Tabuľku môžete použiť ako pomôcku na vytvorenie harmonogramu krvných testov.

Týždne po liečbe Zolgensmou	Krvné testy
<b>Kontrola hladiny troponínu I, ak sa jeho hladina nevrátila do normálneho referenčného rozsahu pre pacientov s SMA.</b>	
<b>5. týždeň</b>	Na kontrolu funkcie pečene Na kontrolu počtu krvných doštičiek
<b>6. týždeň</b>	Na kontrolu funkcie pečene Na kontrolu počtu krvných doštičiek
<b>7. týždeň</b>	Na kontrolu funkcie pečene Na kontrolu počtu krvných doštičiek
<b>8. týždeň</b>	Na kontrolu funkcie pečene Na kontrolu počtu krvných doštičiek

## Harmonogram krvných testov: 3. mesiac po liečbe Zolgensmou (90 dní)



### Krvné testy

Počas tretieho mesiaca po liečbe Zolgensmou sa pacienti sa robia pravidelné krvné testy na kontrolu **funkcie pečene** a **počtu krvných doštičiek** (ak sa ich počet nevrátil na východiskovú hodnotu). **Hladina troponínu I** sa monitoruje najmenej 3 mesiace, alebo až kým sa nevráti do normálneho referenčného rozsahu pre pacientov s SMA. Tabuľku môžete použiť ako pomôcku na vytvorenie harmonogramu krvných testov.

Týždne po liečbe Zolgensmou	Krvné testy
<b>Kontrola hladiny troponínu I, ak sa jeho hladina nevrátila do normálneho referenčného rozsahu pre pacientov s SMA.</b>	
<b>10. týždeň</b>	Na kontrolu funkcie pečene Na kontrolu počtu krvných doštičiek
<b>12. týždeň</b>	Na kontrolu funkcie pečene Na kontrolu počtu krvných doštičiek

### V niektorých prípadoch môžu byť krvné testy a monitorovanie potrebné aj po 3 mesiacoch:

- Monitorovanie funkcie pečene musí pokračovať raz týždenne až do ukončenia znižovania dávky kortikosteroidu a v iných prípadoch podľa klinickej indikácie.
- Počet krvných doštičiek sa musí monitorovať každé dva týždne, až kým sa nevráti na východiskovú hodnotu.
- Hladina troponínu I sa musí monitorovať, až kým sa nevráti do normálneho referenčného rozsahu pre pacientov s SMA.

**Kontrolný zoznam obsahuje zhrnutie aktivít, ktoré je potrebné vykonať pred podaním, počas podania a po podaní infúzie Zolgensmy, aby sa zmiernili možné riziká súvisiace s liečbou Zolgensmou:**

#### **Pred začiatkom liečby**

- Informujte opatrovateľa o:**
  - Hlavných rizikách spojených s liečbou Zolgensmou, ich prejavoch a príznakoch vrátane TMA, zlyhania pečene a trombocytopénie.**
  - Spôsobu likvidácie telesného odpadu.**
  - Potrebe pravidelných odberov krvi.**
  - Dôležitosti liečby kortikosteroidmi.**
  - Potrebe zvýšenej ostražitosťi pri prevencii, monitoringu a liečbe infekcií pred a po liečbe Zolgensmou.**
- Urobte krvné testy, vrátane testovania na prítomnosť protilátok proti AAV9, aby sa zistili východiskové hodnoty.**
- Podajte dávku kortikosteroidu** na zníženie imunitnej odpovede.
- Zhodnoťte harmonogram očkovaní, prípadne rozhodnite o jeho úprave.**
- Skontrolujte celkový zdravotný stav, pretože pri akýchkoľvek prejavoch či príznakoch infekcie sa liečba musí oddialiť.**
- Skontrolujte telesnú hmotnosť pacienta, aby bolo isté, že dostane správnu dávku Zolgensmy.**

#### **V čase podania infúzie**

- Skontrolujte, či je celkový zdravotný stav** pacienta vhodný na podanie infúzie (napr. vyliečená infekcia), alebo či je potrebné jej oddialenie.
- Skontrolujte, či sa začalo s podávaním kortikosteroidov pred podaním Zolgensmy** a podajte ďalšiu dávku na zníženie imunitnej odpovede.
- Skontrolujte telesnú hmotnosť pacienta, aby ste sa uistili, že dostane správnu dávku Zolgensmy.**
- Infúzia Zolgensmy sa podá iba jeden raz.**
- Zabezpečte správnu manipuláciu so Zolgensmou.**

#### **Po infúzii**

- Liečba kortikosteroidmi musí pokračovať minimálne 2 mesiace; a nesmie sa začať s jej znižovaním, pokiaľ hladiny AST/ALT nie sú nižšie ako 2 × ULN a hodnoty všetkých ostatných vyšetrení, napr. bilirubín, sa nevrátia do normálneho rozsahu.**
- Dôsledné a pravidelné monitorovanie (klinické a laboratórne) individuálneho priebehu u pacienta sa musí vykonávať najmenej počas 3 mesiacov.**
- Bezodkladne vyšetrite pacientov so zhoršujúcimi sa testami funkcie pečene a/alebo s prejavmi a príznakmi akútneho ochorenia.**
- Ak pacienti nereagujú adekvátne na kortikosteroidy, alebo ak je podozrenie na poškodenie pečene, je potrebná konzultácia s pediatrickým gastroenterológom alebo hepatológom.**
- Podozrenie na TMA je potrebné konzultovať so špecialistom.**

**Podrobné informácie o bezpečnosti a účinnosti lieku, ako aj upozornenia a opatrenia pri používaní nájdete v SPC lieku Zolgensma.**

# Hlásenie podozrení na nežiaduce účinky

## Hlásenie podozrení na nežiaduce reakcie

Hlásenie podozrení na nežiaduce reakcie po registrácii lieku je dôležité. Umožňuje priebežné monitorovanie pomeru prínosu a rizika lieku.

Od zdravotníckych pracovníkov sa vyžaduje, aby hlásili akékoľvek podozrenia na nežiaduce reakcie na:  
Štátny ústav pre kontrolu liečiv  
Sekcia klinického skúšania liekov a farmakovigilancie  
Kvetná 11, 825 08 Bratislava  
tel.: +421 2 507 01 206  
e-mail: [neziaduce.ucinky@sukl.sk](mailto:neziaduce.ucinky@sukl.sk).

Tlačivo na hlásenie podozrenia na nežiaduci účinok lieku je na webovej stránke [www.sukl.sk](http://www.sukl.sk) v časti Bezpečnosť liekov/Hlásenie podozrení na nežiaduce účinky liekov. Formulár na elektronické podávanie hlásení: <https://portal.sukl.sk/eskadra/>.

Hlásením podozrení na nežiaduce účinky prispievate k získaniu ďalších informácií o bezpečnosti tohto lieku.

V hlásení uveďte aj názov lieku a číslo šarže, ktorá bola pacientovi podaná.

Podozrenia na vedľajšie účinky môžete hlásiť aj spoločnosti Novartis Slovakia s.r.o., Žižkova 22B, 811 02 Bratislava

▼ Zolgensma je predmetom ďalšieho monitorovania. To umožní rýchle získanie nových informácií o bezpečnosti. Môžete prispieť tým, že nahlásite akékoľvek vedľajšie účinky, ak sa u vás vyskytnú.