

▼ Dieses Arzneimittel unterliegt einer zusätzlichen Überwachung. Dies ermöglicht eine schnelle Identifizierung neuer Erkenntnisse über die Sicherheit. Sie können dabei helfen, indem Sie jede bei Ihrem Kind auftretende Nebenwirkung melden. Hinweise zur Meldung von Nebenwirkungen, siehe Ende Kapitel «Welche Nebenwirkungen kann Zolgensma haben?».

Information für Patientinnen und Patienten

Lesen Sie diese Packungsbeilage sorgfältig, bevor Ihrem Kind das Arzneimittel verabreicht wird. Dieses Arzneimittel ist Ihrem Kind verschrieben worden und Sie dürfen es nicht an andere Personen weitergeben. Auch wenn diese die gleichen Krankheitssymptome haben wie Ihr Kind, könnte ihnen das Arzneimittel schaden.

Bewahren Sie die Packungsbeilage auf, Sie wollen sie vielleicht später nochmals lesen.

Zolgensma®

Novartis Pharma Schweiz AG

Was ist Zolgensma und wann wird es angewendet?

Zolgensma ist ein sogenanntes «gentherapeutisches» Arzneimittel. Es enthält den Wirkstoff Onasemnogen abeparvovec, der genetisches Material vom Menschen enthält.

Zolgensma wird zur Behandlung von Säuglingen und Kleinkindern verwendet, die eine seltene, schwerwiegende Erbkrankheit haben, die so genannte «spinale Muskelatrophie» (SMA).

Wie wirkt Zolgensma

Eine SMA tritt auf, wenn ein bestimmtes Gen zur Herstellung eines essentiellen Proteins (das so genannte «Survival Motor Neuron» (SMN) Protein) fehlt oder eine Anomalie aufweist. Der Mangel an SMN-Protein führt dazu, dass die Nervenzellen zur Kontrolle der Muskeln (Motoneuronen) absterben. Infolgedessen werden die Muskeln schwach und verkümmern, was schliesslich zum Verlust der Bewegungsfähigkeit führt.

Zolgensma liefert eine voll funktionsfähige Kopie des SMN-Gens, sodass der Körper genügend SMN-Protein produzieren kann. Das Gen wird mithilfe eines veränderten Virus, das keine Krankheiten beim Menschen verursacht, in die Zellen eingebracht, wo es benötigt wird.

Auf Verschreibung des Arztes oder der Ärztin.

Wann darf Zolgensma nicht angewendet werden?

Ihr Kind **darf NICHT** mit Zolgensma behandelt werden, wenn es allergisch gegen Onasemnogen abeparvovec oder einen der in Abschnitt «Was ist in Zolgensma enthalten?» genannten sonstigen Bestandteile dieses Arzneimittels ist.

Wann ist bei der Anwendung von Zolgensma Vorsicht geboten?

Der Arzt/Die Ärztin Ihres Kindes wird vor der Behandlung einige Tests auf Antikörper durchführen um zu entscheiden, ob dieses Arzneimittel für Ihr Kind geeignet ist.

Lebererkrankungen

Informieren Sie den Arzt/die Ärztin Ihres Kindes oder das medizinische Fachpersonal, wenn Ihr Kind eine Lebererkrankung hatte. Zolgensma kann eine Immunreaktion hervorrufen, die zu einem Anstieg der von der Leber produzierten Enzyme oder zu einer Schädigung der Leber führen kann, dies kann schwerwiegende Folgen haben, einschliesslich Leberversagen und Tod. Mögliche Anzeichen, auf die Sie nach der Anwendung dieses Arzneimittels bei Ihrem Kind achten müssen, sind Erbrechen, Gelbsucht (Gelbfärbung der Haut oder der weissen Bereiche im Auge) oder verminderte Wachsamkeit. Informieren Sie unverzüglich den Arzt Ihres Kindes, wenn Sie Symptome bemerken welche auf eine Schädigung der Leber hindeuten. (weitere Informationen siehe Abschnitt «Welche Nebenwirkungen kann Zolgensma haben?»).

Zur Prüfung der Leberfunktion wird vor Beginn der Behandlung mit Zolgensma eine Blutuntersuchung bei Ihrem Kind durchgeführt. Um zu kontrollieren, ob die Leberenzyme erhöht sind, werden ausserdem nach



der Behandlung mindestens 3 Monate lang regelmässige Blutuntersuchungen bei Ihrem Kind durchgeführt.

Infektionen

Wenn Ihr Kind vor oder nach der Behandlung mit Zolgensma eine Infektion (z.B. Erkältung, Grippe oder Bronchiolitis) bekommt, kann dies möglicherweise zu weiteren schwerwiegenden Komplikationen führen. Pfleger und enge Kontaktpersonen sollten sich an die Massnahmen der Infektionsprävention halten (z.B. Handhygiene, Atemwegs-/Hustenhygiene, Begrenzung möglicher Kontakte). Anzeichen einer möglichen Infektion, auf die Sie bei Ihrem Kind achten müssen, sind Husten, pfeifendes Atmen, Niesen, laufende Nase, Halsschmerzen oder Fieber. Informieren Sie unverzüglich den Arzt/die Ärztin Ihres Kindes, wenn Sie feststellen, dass Ihr Kind vor oder nach Behandlung mit Zolgensma Symptome entwickelt.

Regelmässige Blutuntersuchungen

Zolgensma kann die Blutplättchenzahl senken (Thrombozytopenie). Dies wurde meistens innerhalb von zwei Wochen nach Anwendung von Zolgensma beobachtet. Mögliche Anzeichen einer niedrigen Blutplättchenzahl, auf die Sie nach der Anwendung von Zolgensma bei Ihrem Kind achten müssen, sind anormale Blutergüsse oder Blutungen (weitere Informationen siehe Abschnitt «Welche Nebenwirkungen kann Zolgensma haben?»).

Zolgensma kann zu erhöhten Werten von Troponin-I führen, einem im Herzmuskel vorkommenden (kardialen) Protein.. Mögliche Anzeichen für erhöhte Troponin-I-Werte, auf die Sie nach der Anwendung von Zolgensma bei Ihrem Kind achten müssen, sind blasse, grau-blaue Hautfarbe, Atembeschwerden (z.B. schnelle Atmung, Kurzatmigkeit) in Ruhe oder bei Aktivität, schnelles Ermüden oder schwitzen während dem Essen), (weitere Informationen siehe Abschnitt «Welche Nebenwirkungen kann Zolgensma haben?»). Informieren Sie den Arzt Ihres Kindes sofort, wenn Sie feststellen, dass Ihr Kind eines der oben genannten Symptome entwickelt, da diese Anzeichen für mögliche Herzprobleme sind.

Vor der Behandlung mit Zolgensma wird bei Ihrem Kind eine Blutuntersuchung durchgeführt, um die Anzahl der Blutzellen (einschliesslich roter Blutkörperchen und. Ausserdem wird mit einer Blutuntersuchung der Kreatininwert überprüft, der ein Indikator dafür ist, wie die Nieren arbeiten. Zur Überwachung von Veränderungen in der Anzahl der Blutplättchen werden bei Ihrem Kind nach der Behandlung für einen bestimmten Zeitraum regelmässige Blutuntersuchungen durchgeführt.

Infusionsbedingte Reaktionen

Während und/oder kurz nach der Infusion von Zolgensma können infusionsbedingte Nebenwirkungen auftreten. Zu den Anzeichen und Symptomen können Ausschlag, Nesselsucht, Erbrechen, Atembeschwerden, Kurzatmigkeit, Veränderungen der Herzfrequenz und des Blutdrucks gehören. Informieren Sie sofort den Arzt oder die medizinische Fachkraft Ihres Kindes, wenn bei Ihrem Kind diese oder andere neue Anzeichen und Symptome während oder kurz nach der Infusion auftreten. Bevor Sie mit Ihrem Kind nach Hause dürfen, wird der Arzt Sie darüber informieren, was zu tun ist, wenn bei Ihrem Kind neue Nebenwirkungen auftreten oder die Nebenwirkungen wiederkehren.

Störung der Blutgerinnung in den kleinen Blutgefässen (thrombotische Mikroangiopathie)

Es gibt Berichte von Patienten, die innerhalb von zwei Wochen nach der Behandlung mit Zolgensma eine thrombotische Mikroangiopathie entwickelten. Eine thrombotische Mikroangiopathie geht mit einer Abnahme der roten Blutkörperchen und der an der Gerinnung beteiligten Zellen (Thrombozyten) einher. Diese Blutgerinnsel können die Nieren Ihres Kindes beeinträchtigen. Möglicherweise möchte der Arzt Ihres Kindes das Blut (die Anzahl der Blutplättchen) und den Blutdruck Ihres Kindes untersuchen. Mögliche Anzeichen, auf die Sie achten müssen, nachdem Ihr Kind Zolgensma bekommen hat, sind eine Neigung zu blauen Flecken (Blutergüssen), Krampfanfälle oder eine Abnahme der Urinausscheidung (weitere Informationen siehe Abschnitt «Welche Nebenwirkungen kann Zolgensma haben?»). Begeben Sie ihr Kind umgehend in ärztliche Notfallbehandlung, wenn es eines dieser Anzeichen entwickelt.

Anwendung von Zolgensma zusammen mit anderen Arzneimitteln

Informieren Sie den Arzt/die Ärztin Ihres Kindes oder das medizinische Fachpersonal, wenn bei Ihrem Kind andere Arzneimittel angewendet werden, kürzlich andere Arzneimittel angewendet worden sind oder beabsichtigt wird, andere Arzneimittel anzuwenden.



Prednisolon

Im Rahmen der Behandlung mit Zolgensma erhält Ihr Kind auch für einen gewissen Zeitraum (siehe auch Abschnitt «Was ist Zolgensma und wann wird es angewendet?») das Arzneimittel Prednisolon. Dies ist ein so genanntes Kortikosteroid zur Kontrolle eines möglichen Anstiegs der Leberenzyme, der nach der Anwendung von Zolgensma bei Ihrem Kind auftreten könnte. Der Arzt/Die Ärztin Ihres Kindes wird entscheiden, ob Ihr Kind Prednisolon oder ein anderes Kortikosteroid erhalten soll.

Impfungen

Kortikosteroide können das Immunsystem beeinflussen. Daher **kann der Arzt/die Ärztin Ihres Kindes entscheiden, einige Impfungen Ihres Kindes zu verschieben**, solange es mit Prednisolon/Kortikosteroiden behandelt wird. Wenn Sie Fragen haben, wenden Sie sich an den Arzt/die Ärztin Ihres Kindes oder das medizinische Fachpersonal.

Zolgensma enthält Natrium

Dieses Arzneimittel enthält 75,9 bis 531,3 mg Natrium (Hauptbestandteil von Kochsalz/Speisesalz) pro Dosiereinheit. Dies entspricht 3 bis 26 % der für einen Erwachsenen empfohlenen maximalen täglichen Natriumaufnahme mit der Nahrung.

Weitere Informationen für Eltern/Betreuungspersonen

Fortgeschrittene SMA

Zolgensma kann lebensfähige Motoneuronen retten, jedoch keine toten Motoneuronen. Kinder mit weniger schweren SMA-Symptomen (wie fehlende Reflexe oder verminderter Muskeltonus) können genügend lebende Motoneuronen haben, um von einer Behandlung mit Zolgensma signifikant zu profitieren. Zolgensma wirkt möglicherweise ebenfalls nicht gut bei Kindern mit schwerer Muskelschwäche oder -lähmung, Atembeschwerden oder Schluckunfähigkeit oder bei Kindern mit signifikanten Missbildungen (wie z.B. Herzfehlern), einschliesslich Patienten mit Typ-0-SMA, da diese Symptome bedeuten, dass nach der Behandlung mit Zolgensma die Möglichkeit einer Verbesserung nur begrenzt ist. Der Arzt/Die Ärztin Ihres Kindes wird entscheiden, ob Ihr Kind dieses Arzneimittel erhalten soll.

Hygienepflege

Der Wirkstoff in Zolgensma kann vorübergehend über die Exkremente Ihres Kindes ausgeschieden werden. Eltern und Betreuungspersonen sollten nach der Behandlung mit Zolgensma bis zu 1 Monat lang eine gute Handhygiene befolgen. Tragen Sie Schutzhandschuhe, wenn Sie mit den Körperflüssigkeiten und dem Stuhl Ihres Kindes in direkten Kontakt kommen, und waschen Sie sich die Hände anschliessend gründlich mit Seife und warmem fliessenden Wasser oder einem Handreiniger auf Alkoholbasis. Zur Beseitigung von verschmutzten Windeln und anderen Abfällen sollten Doppelbeutel benutzt werden. Einwegwindeln können in Plastik-Doppelbeutel verschlossen über den Hausmüll entsorgt werden.

Befolgen Sie diese Anweisungen noch mindestens 1 Monat nach der Behandlung Ihres Kindes mit Zolgensma. Wenn Sie Fragen haben, wenden Sie sich an den Arzt/die Ärztin Ihres Kindes oder das medizinische Fachpersonal.

Informieren Sie den Arzt/die Ärztin, wenn Ihr Kind

- an anderen Krankheiten leidet,
- Allergien hat oder
- andere Arzneimittel (auch selbst gekaufte!) einnimmt!

Theoretisches Tumorrisiko im Zusammenhang mit der Möglichkeit eines Einbaus von Zolgensma in die menschliche DNA

Es besteht die Möglichkeit, dass sich Therapien wie Zolgensma aufgrund ihrer Beschaffenheit in die DNA menschlicher Körperzellen einfügen. Infolgedessen könnte Zolgensma zu einem Tumorrisiko beitragen. Dies sollte mit dem Arzt Ihres Kindes besprochen werden. Im Falle eines Tumors entnimmt der Arzt möglicherweise eine Probe zur weiteren Untersuchung.



Darf Zolgensma während einer Schwangerschaft oder in der Stillzeit eingenommen/angewendet werden?

-

Wie verwenden Sie Zolgensma?

Zolgensma darf nur in Spital-basierten, spezialisierten neuromuskulären Zentren verabreicht werden.

Zolgensma wird Ihrem Kind von einem Arzt/einer Ärztin oder einer medizinischen Fachkraft verabreicht, der/die in der Behandlung der Erkrankung Ihres Kindes geschult ist.

Die Menge an Zolgensma, die Ihr Kind erhält, wird vom Arzt/von der Ärztin anhand des Körpergewichts Ihres Kindes ermittelt. Die Dosis wird in Einheiten gemessen, die als Vektorgenome bezeichnet werden.

Die empfohlene Dosis beträgt $1,1 \times 10^{14}$ Vektorgenome pro kg Körpergewicht. Sie wird Ihrem Kind als einzelne Infusion (Tropf) über einen Zeitraum von etwa 1 Stunde intravenös (in eine Vene) gegeben.

Zolgensma wird Ihrem Kind nur EINMAL gegeben.

Vierundzwanzig Stunden vor der Anwendung von Zolgensma erhält Ihr Kind ausserdem Prednisolon (oder ein anderes Kortikosteroid) zum Einnehmen. Die Kortikosteroid-Dosis hängt ebenfalls vom Körpergewicht Ihres Kindes ab. Die empfohlene Prednisolon-Dosis beträgt 1 mg pro kg Körpergewicht täglich. Der Arzt/Die Ärztin Ihres Kindes wird die erforderliche Gesamtdosis berechnen.

Ihr Kind wird nach der Verabreichung von Zolgensma etwa 2 Monate lang täglich mit Kortikosteroiden behandelt, oder bis die erhöhten Leberenzymwerte Ihres Kindes auf ein akzeptables Niveau gesunken sind. Die Ihrem Kind verabreichte Kortikosteroid-Dosis wird langsam reduziert, bis die Behandlung vollständig eingestellt werden kann. Der Arzt/Die Ärztin Ihres Kindes erklärt Ihnen, wann und wie die Behandlung für Ihr Kind beendet wird.

Wenn Sie weitere Fragen zur Anwendung von Zolgensma oder Prednisolon haben, wenden Sie sich an den Arzt/die Ärztin Ihres Kindes oder das medizinische Fachpersonal.

Welche Nebenwirkungen kann Zolgensma haben?

Wie alle Arzneimittel kann auch dieses Arzneimittel Nebenwirkungen haben, die aber nicht bei jedem auftreten müssen.

Begeben Sie sich in unverzüglich in ärztliche Notfallbehandlung, wenn eine der folgenden schwerwiegenden Nebenwirkungen bei Ihrem Kind auftritt:

Häufig (betrifft 1 bis 10 von 100 Anwendern)

- Blutergüsse oder Blutungen, die länger als üblich andauern, wenn Ihr Kind verletzt wurde: Dies können Anzeichen für eine niedrige Blutplättchenzahl sein.
- blasse, graue oder blaue Hautfarbe, Atembeschwerden (z.B. schnelle Atmung, Kurzatmigkeit), Schwellungen der Gliedmassen oder des Bauches: Dies können Anzeichen für mögliche Herzprobleme sein.

Unbekannt (Häufigkeit auf Grundlage der vorhandenen Daten nicht abschätzbar):

- Erbrechen, Gelbsucht (Gelbfärbung der Haut oder der weissen Bereiche im Auge) oder verminderte Wachsamkeit – dies können Anzeichen für eine Schädigung der Leber oder ein Leberversagen sein.
- Neigung zu blauen Flecken (Blutergüssen), Krampfanfälle, Abnahme der Urinausscheidung: Dies können Anzeichen einer thrombotischen Mikroangiopathie sein.

Wenn Sie bei Ihrem Kind andere Nebenwirkungen bemerken, wenden Sie sich an den Arzt/die Ärztin Ihres Kindes oder das medizinische Fachpersonal. Dies können sein:

Sehr häufig (betrifft mehr als einen von 10 Anwendern)

- erhöhte Leberenzymwerte in den Blutuntersuchungen



Häufig (betrifft 1 bis 10 von 100 Anwendern)

- Erbrechen
- Fieber

Wenn Sie bei Ihrem Kind Nebenwirkungen bemerken, wenden Sie sich an den Arzt/die Ärztin Ihres Kindes oder das medizinische Fachpersonal. Dies gilt insbesondere auch für Nebenwirkungen, die nicht in dieser Packungsbeilage angegeben sind.

Indem Sie Nebenwirkungen melden, können Sie dazu beitragen, dass mehr Informationen über die Sicherheit dieses Arzneimittels zur Verfügung gestellt werden.

Was ist ferner zu beachten?

Das Arzneimittel darf nur bis zu dem auf dem Etikett der Durchstechflasche und auf dem Behälter mit «EXP» bezeichneten Datum verwendet werden. Das Verfalldatum bezieht sich auf den letzten Tag des angegebenen Monats.

Lagerungshinweis

Die Durchstechflaschen werden in gefrorenem Zustand (bei oder unter -60 °C) transportiert.

Nach Erhalt der Durchstechflaschen sollten diese unverzüglich bei 2 °C bis 8 °C im Kühlschrank gelagert und in der Originalverpackung aufbewahrt werden. Die Zolgensma-Therapie muss innerhalb von 14 Tagen nach Erhalt der Durchstechflaschen eingeleitet werden.

Weitere Hinweise

Weitere Auskünfte erteilt Ihnen der Arzt/die Ärztin Ihres Kindes. Diese Personen verfügen über die ausführliche Fachinformation.

Was ist in Zolgensma enthalten?

Zolgensma ist eine klare bis leicht opake, farblose bis leicht weisse Infusionslösung.

Wirkstoffe

Der Wirkstoff ist Onasemnogen abeparvovec.

Jede Durchstechflasche enthält Onasemnogen abeparvovec mit einer nominalen Konzentration von 2×10^{13} vg/ml.

Besteht aus genetisch verändertem adeno-assoziiertem viralem Vektor vom Serotyp 9 (AAV9).

Hilfsstoffe

Die sonstigen Bestandteile sind Tromethamin, Magnesiumchlorid, Natriumchlorid, Poloxamer 188, Salzsäure (zur pH-Einstellung) und Wasser für Injektionszwecke.

Zulassungsnummer

67529 (Swissmedic).

Wo erhalten Sie Zolgensma? Welche Packungen sind erhältlich?

Nur in Spital-basierten, spezialisierten neuromuskulären Zentren, gegen ärztliche Verschreibung. Zolgensma ist in Durchstechflaschen mit einem nominalen Füllvolumen von entweder 5,5 ml oder 8,3 ml erhältlich. Jede Durchstechflasche ist nur zur einmaligen Anwendung bestimmt.

Jeder Karton enthält 2 bis 14 Durchstechflaschen.

ZulassungsinhaberIn

Novartis Pharma Schweiz AG, Risch; Domizil: 6343 Rotkreuz

Diese Packungsbeilage wurde im Dezember 2024 letztmals durch die Arzneimittelbehörde (Swissmedic) geprüft.

