

▼ Questo medicamento è soggetto a monitoraggio addizionale. Ciò consente una rapida identificazione delle nuove conoscenze in materia di sicurezza. Può contribuire segnalando ogni effetto collaterale che dovesse notare in suo figlio. Per le indicazioni sulla notifica degli effetti collaterali, cfr. la fine del capitolo «Quali effetti collaterali può avere Zolgensma?».

Informazione destinata ai pazienti

Legga attentamente il foglietto illustrativo prima che a suo/a figlio/a venga somministrato il medicamento. Questo medicamento è stato prescritto personalmente a suo/a figlio/a e quindi non deve essere consegnato ad altre persone, anche se i sintomi sono gli stessi. Il medicamento potrebbe nuocere alla loro salute.

Conservi il foglietto illustrativo per poterlo rileggere all'occorrenza.

Zolgensma®

Novartis Pharma Schweiz AG

Che cos'è Zolgensma e quando si usa?

Zolgensma è un tipo di medicamento chiamato «terapia genica». Esso contiene il principio attivo onasemnogen abeparvovec che contiene a sua volta materiale genetico umano.

Zolgensma è indicato per il trattamento di neonati e bambini piccoli affetti da una malattia ereditaria rara e grave chiamata «atrofia muscolare spinale» (SMA).

Come agisce Zolgensma

La SMA si verifica nel caso in cui un determinato gene necessario per produrre una proteina essenziale (nota come proteina di «sopravvivenza dei motoneuroni», SMN) è mancante o presenta un'anomalia. La mancanza di proteina SMN provoca la morte delle cellule nervose che controllano i muscoli (motoneuroni). Ciò causa indebolimento e deperimento muscolare, con conseguente perdita della capacità di movimento.

Zolgensma fornisce una copia completamente funzionante del gene SMN in modo che il corpo possa produrre una quantità sufficiente di proteine SMN. Il gene viene trasportato nelle cellule dove la sua presenza è necessaria, tramite un virus modificato che non causa malattie nell'essere umano.

Su prescrizione medica.

Quando non si può usare Zolgensma?

Suo/a figlio/a **NON deve** essere trattato con Zolgensma se è allergico/a a onasemnogen abeparvovec o a uno qualsiasi degli altri componenti del medicamento indicati nella sezione «Cosa contiene Zolgensma?».

Quando è richiesta prudenza nell'uso di Zolgensma?

Il medico di suo/a figlio/a effettuerà dei test anticorpali prima del trattamento per stabilire se questo medicamento è adatto a suo/a figlio/a.

Malattie epatiche

Informi il medico di suo/a figlio/a o il personale sanitario se suo/a figlio/a ha sofferto di malattie epatiche. Zolgensma può scatenare una reazione immunitaria che può provocare un aumento degli enzimi prodotti dal fegato o portare a un danno epatico che può avere gravi conseguenze, tra cui l'insufficienza epatica e il decesso. Possibili segni a cui deve prestare attenzione dopo l'uso di questo medicamento in suo/a figlio/a sono vomito, ittero (colorazione giallastra della pelle o dell'area bianca degli occhi) oppure vigilanza ridotta. Informi immediatamente il medico di suo/a figlio/a se osserva sintomi che indicano un danno epatico (per ulteriori informazioni consulti la sezione «Quali effetti collaterali può avere Zolgensma?»).

Per controllare la funzionalità epatica, suo/a figlio/a deve essere sottoposto ad un esame del sangue prima di iniziare il trattamento con Zolgensma. Per verificare l'eventuale aumento degli enzimi epatici, suo/a figlio/a dovrà regolarmente sottoporsi a esami del sangue per almeno 3 mesi in seguito al trattamento.



Infezioni

Se suo figlio/a sviluppa un'infezione (ad es. raffreddore, influenza o bronchiolite) prima o dopo il trattamento con Zolgensma, potrebbero subentrare complicazioni più gravi. La persona che si prende cura di suo/a figlio/a e i contatti stretti devono attenersi alle misure di prevenzione delle infezioni (ad esempio igiene delle mani, igiene delle vie respiratorie e della tosse, limitazione dei possibili contatti). I segni di una possibile infezione ai quali deve prestare attenzione in suo/a figlio/a includono tosse, respiro sibilante, starnuti, naso che cola, mal di gola o febbre. Informi immediatamente il medico di suo/a figlio/a se nota che suo/a figlio/a sviluppa uno di questi sintomi prima o dopo il trattamento con Zolgensma.

Esami del sangue regolari

Zolgensma può diminuire la conta delle piastrine nel sangue (trombocitopenia). Ciò è stato osservato soprattutto entro due settimane dall'utilizzo di Zolgensma. I possibili segni di diminuzione della conta piastrinica nel sangue, ai quali deve prestare attenzione successivamente all'uso di Zolgensma in suo/a figlio/a, includono lividi o sanguinamenti anomali (per ulteriori informazioni, consulti la sezione «Quali effetti collaterali può avere Zolgensma?»).

Zolgensma può causare un aumento dei livelli della troponina I, una proteina (cardiaca) presente nel muscolo cardiaco. I possibili segni di aumento della troponina I, ai quali deve prestare attenzione in seguito alla somministrazione di Zolgensma in suo/a figlio/a sono colorazione grigio/bluastro o pallida della pelle, difficoltà di respirazione, (ad es. respirazione rapida, respiro corto) o durante attività, affaticamento rapido o sudorazione durante i pasti (per maggiori informazioni consulti la sezione «Quali effetti collaterali può avere Zolgensma?»). Informi immediatamente il medico di suo/a figlio/a se nota che suo/a figlio/a sviluppa uno dei sintomi sopra descritti, in quanto si tratta di segni di possibili problemi cardiaci.

Prima di essere trattato con Zolgensma, suo/a figlio/a dovrà sottoporsi a un esame del sangue per valutare la conta ematica (inclusi globuli rossi). Inoltre, un esame del sangue permetterà di controllare i livelli di creatinina, un indicatore del funzionamento renale. Per monitorare le variazioni della conta piastrinica, suo/a figlio/a avrà sottoposto a esami del sangue regolari per un determinato periodo dopo il trattamento.

Reazioni dovute all'infusione

Gli effetti collaterali correlati all'infusione possono verificarsi durante e/o poco dopo l'infusione di Zolgensma. I segni e i sintomi possono includere eruzione cutanea, orticaria, vomito, difficoltà respiratorie, fiato corto, alterazioni della frequenza cardiaca e della pressione sanguigna. Informi immediatamente il medico o l'operatore sanitario se suo/a figlio/a manifesta questi o altri nuovi segni e sintomi durante o subito dopo l'infusione. Prima di poter tornare a casa con suo/a figlio/a, il medico spiegherà cosa fare se suo/a figlio/a manifesta nuovi effetti collaterali o se gli effetti collaterali si ripetono.

Disturbi della coagulazione del sangue nei piccoli vasi sanguigni (microangiopatia trombotica)

Alcuni pazienti hanno riportato che nell'arco di due settimane dal trattamento con Zolgensma hanno sviluppato una microangiopatia trombotica. La microangiopatia trombotica è accompagnata da una riduzione dei globuli rossi e delle cellule coinvolte nella coagulazione (trombociti). Questi coaguli del sangue possono compromettere i reni suo/a figlio/a. Il medico potrebbe dover analizzare i valori del sangue (la conta piastrinica) e misurare la pressione arteriosa di suo/a figlio/a. I possibili segni ai quali deve prestare attenzione dopo la somministrazione di Zolgensma a suo/a figlio/a sono tendenza ai lividi (ematomi), crisi convulsive o riduzione della produzione di urina (per ulteriori informazioni consulti la sezione «Quali effetti collaterali può avere Zolgensma?»). Se suo/a figlio/a sviluppa uno di questi segni, richieda immediatamente un intervento medico d'urgenza.

Uso di Zolgensma con altri medicinali

Informi il medico di suo/a figlio/a o il personale sanitario se suo/a figlio/a sta assumendo, ha assunto di recente o intende assumere altri medicinali.

Prednisolone

Durante il trattamento con Zolgensma, suo/a figlio/a riceverà per un determinato periodo di tempo un medicamento chiamato prednisolone (consulti anche la sezione «Che cos'è Zolgensma e quando si



usa?»). Si tratta di un cosiddetto corticosteroide che serve a controllare il potenziale aumento degli enzimi epatici che può verificarsi in suo/a figlio/a in seguito all'uso di Zolgensma. Il medico di suo/a figlio/a deciderà se somministrare a suo/a figlio/a prednisolone o un altro corticosteroide.

Vaccinazioni

I corticosteroidi possono influenzare il sistema immunitario. Pertanto, **il medico di suo/a figlio/a può decidere di posticipare alcune vaccinazioni** fintanto che suo/a figlio/a viene trattato/a con prednisolone/corticosteroidi. In caso di domande, si rivolga al medico di suo/a figlio/a o al personale sanitario.

Zolgensma contiene sodio

Questo medicamento contiene da 75.9 a 531.3 mg di sodio (componente principale del sale da cucina) per dose. Questo equivale al 3-26% dell'assunzione massima giornaliera raccomandata con la dieta di un adulto.

Ulteriori informazioni per genitori/assistenti

SMA avanzata

Zolgensma può salvare i motoneuroni vitali ma non salva quelli morti. I bambini con sintomi di SMA meno gravi (come assenza di riflessi o tono muscolare ridotto) potrebbero avere sufficienti motoneuroni vivi per ricevere un beneficio significativo dal trattamento con Zolgensma. Zolgensma potrebbe non essere altrettanto efficace nei bambini con grave debolezza muscolare o paralisi, con problemi respiratori o non in grado di deglutire, o nei bambini con malformazioni significative (come ad es. difetti cardiaci), inclusi i pazienti con SMA di tipo 0, poiché questi sintomi implicano una possibilità di miglioramento limitata in seguito al trattamento con Zolgensma. Il medico di suo/a figlio/a deciderà se somministrare il medicamento a suo/a figlio/a.

Precauzioni igieniche

Il principio attivo contenuto in Zolgensma può essere escreto in via temporanea con i rifiuti corporei di suo/a figlio/a. I genitori e gli assistenti devono osservare una buona igiene delle mani per un periodo fino a 1 mese dopo il trattamento con Zolgensma. Indossi guanti protettivi quando entra in contatto diretto con i fluidi o rifiuti corporei di suo/a figlio/a e poi si lavi accuratamente le mani con sapone e acqua calda corrente o usi un detergente a base di alcol. Usi un doppio sacchetto per lo smaltimento dei pannolini sporchi e di altri rifiuti. Dopo essere stati avvolti in un doppio sacchetto di plastica, i pannolini usa-e-getta possono essere smaltiti nei rifiuti domestici.

Dovrà continuare a seguire queste istruzioni per almeno 1 mese dopo il trattamento di suo/a figlio/a con Zolgensma. In caso di domande, si rivolga al medico di suo/a figlio/a o al personale sanitario.

Informi il medico nel caso in cui suo/a figlio/a:

- soffre di altre malattie,
- soffre di allergie o
- assume altri medicinali (anche acquistati di sua iniziativa).

Rischio teorico di tumore in rapporto alla possibilità di un'integrazione di Zolgensma nel DNA umano

Sussiste la possibilità che terapie come Zolgensma, per loro natura, penetrino nel DNA delle cellule del corpo umano. Di conseguenza, Zolgensma potrebbe contribuire al rischio di sviluppare un tumore. Ciò dovrebbe essere discusso con il medico di suo/a figlio/a. Nel caso di un tumore, è possibile che il medico prelevi un campione per le ulteriori analisi.

Si può assumere/usare Zolgensma durante la gravidanza o l'allattamento?

-

Come usare Zolgensma?

Zolgensma può essere somministrato esclusivamente in centri ospedalieri neuromuscolari specializzati.



Zolgensma sarà somministrato a suo/a figlio/a da un medico o da personale sanitario specializzato nel trattamento della malattia.

La quantità di Zolgensma da somministrare sarà determinata dal medico o dal personale sanitario in base al peso corporeo di suo/a figlio/a. La dose è misurata in unità chiamate genomi vettoriali.

La dose raccomandata è di 1.1×10^{14} genomi vettoriali per kg di peso corporeo. Sarà somministrata a suo/a figlio/a mediante singola infusione (flebo) endovenosa (in vena) nell'arco di circa 1 ora.

Zolgensma sarà somministrato a suo/a figlio/a solo UNA VOLTA.

Suo/a figlio/a riceverà anche un trattamento con prednisolone (o un altro corticosteroide) per via orale, a partire da 24 ore prima della somministrazione di Zolgensma. Anche la dose di corticosteroidi dipenderà dal peso corporeo di suo/a figlio/a. La dose raccomandata di prednisolone è di 1 mg per kg di peso corporeo al giorno. Il medico di suo/a figlio/a stabilirà la dose totale necessaria da somministrare.

Suo/a figlio/a riceverà corticosteroidi ogni giorno per circa 2 mesi dopo la somministrazione di Zolgensma, oppure fino alla diminuzione ad un livello accettabile degli enzimi epatici aumentati. La dose di corticosteroide somministrata a suo/a figlio/a sarà ridotta lentamente fino a quando sarà possibile interrompere completamente la somministrazione. Il medico di suo/a figlio/a le spiegherà quando e come sarà interrotto il trattamento per suo/a figlio/a.

In caso di ulteriori domande sull'uso di Zolgensma o del prednisolone, si rivolga al medico di suo/a figlio/a o al personale sanitario.

Quali effetti collaterali può avere Zolgensma?

Come tutti i medicinali, anche questo medicamento può causare effetti collaterali sebbene non tutte le persone li manifestino.

Chieda immediatamente assistenza medica d'emergenza se suo/a figlio/a sviluppa uno qualsiasi dei seguenti effetti collaterali gravi:

Comune (riguarda da 1 a 10 utilizzatori su 100)

- Lividi o sanguinamento di durata più lunga del solito, se suo/a figlio/a si è fatto male: potrebbero essere segni di una bassa conta piastrinica.
- Colorazione pallida, grigia o bluastra della pelle, difficoltà di respirazione (ad es. respirazione rapida, fiato corto), gonfiore degli arti o dell'addome: potrebbero essere segni di possibili problemi cardiaci.

Non nota (frequenza non definibile sulla base dei dati disponibili)

- Vomito, ittero (colorazione giallastra della pelle o dell'area bianca degli occhi) oppure vigilanza ridotta – possono essere segni di un danno epatico o di un'insufficienza epatica.
- Tendenza ai lividi (ematomi), crisi convulsive e riduzione della produzione di urina: potrebbero essere segni di microangiopatia trombotica.

Se suo/a figlio/a sviluppa altri effetti collaterali, si rivolga al medico di suo/a figlio/a o al personale sanitario. Questi possono essere classificati come:

Molto comune (riguarda più di 1 utilizzatore su 10)

- Enzimi epatici aumentati negli esami del sangue.

Comune (riguarda da 1 a 10 utilizzatori su 100)

- Vomito.
- Febbre.

Se osserva effetti collaterali in suo/a figlio/a, si rivolga al medico di suo/a figlio/a o al personale sanitario, soprattutto se si tratta di effetti collaterali non descritti in questo foglietto illustrativo.



Segnalando gli effetti collaterali può contribuire a fornire maggiori informazioni sulla sicurezza di questo medicamento.

Di che altro occorre tener conto?

Il medicamento non dev'essere utilizzato oltre la data indicata con «EXP» sull'etichetta del flaconcino e sul contenitore. La data di scadenza si riferisce all'ultimo giorno del mese indicato.

Istruzioni di conservazione

I flaconcini saranno trasportati in stato di congelamento (a temperatura pari o inferiore a -60°C).

Al ricevimento, i flaconcini devono essere riposti immediatamente in frigorifero a una temperatura di 2°C–8°C e conservati nella confezione originale. La terapia con Zolgensma deve essere iniziata entro 14 giorni dal ricevimento dei flaconcini.

Ulteriori indicazioni

Il medico di suo/a figlio/a, che è in possesso di un'informazione professionale dettagliata, può darle ulteriori informazioni.

Cosa contiene Zolgensma?

Zolgensma è una soluzione per infusione da trasparente a leggermente opaca, da incolore a bianco pallido.

Principi attivi

Il principio attivo è onasemnogen abeparvovec.

Ciascun flaconcino contiene onasemnogen abeparvovec con una concentrazione nominale di 2×10^{13} vg/ml.

È costituito dal vettore virale adeno-associato geneticamente modificato di sierotipo 9 (AAV9).

Sostanze ausiliarie

Gli altri componenti sono trometamina, magnesio cloruro, sodio cloruro, polassamero 188, acido cloridrico (per la regolazione del pH) e acqua per preparazioni iniettabili.

Numero dell'omologazione

67529 (Swissmedic).

Dove è ottenibile Zolgensma? Quali confezioni sono disponibili?

Solo in centri ospedalieri neuromuscolari specializzati, dietro presentazione della prescrizione medica. Zolgensma è disponibile in flaconcini con volume di riempimento nominale di 5.5 ml o 8.3 ml. Ciascun flaconcino è esclusivamente monouso.

Ogni scatola contiene da 2 a 14 flaconcini.

Titolare dell'omologazione

Novartis Pharma Schweiz AG, Risch; Domicilio: 6343 Rotkreuz

Questo foglietto illustrativo è stato controllato l'ultima volta nel dicembre 2024 dall'autorità competente in materia di medicinali (Swissmedic).

