



# Vodič za zdravstvene radnike

## za liječenje lijekom Zolgensma (onasemnogen abeparvovek) ▼

Ovaj vodič predstavlja edukacijski materijal koji je obavezan kao uvjet za stavljanje lijeka Zolgensma u promet, u cilju dodatne minimizacije važnih odabranih rizika.

Bez promidžbenog sadržaja.

Informacije navedene u ovom edukacijskom materijalu ne zamjenjuju one navedene u uputi o lijeku koja je priložena svakom pakiranju ovog lijeka. Za potpune informacije prije primjene lijeka pročitajte uputu o lijeku (dostupna u svakom pakiranju lijeka i na [www.halmed.hr/Lijekovi/Baza-lijekova](http://www.halmed.hr/Lijekovi/Baza-lijekova)).

▼ Ovaj je lijek pod dodatnim praćenjem. Time se omogućuje brzo otkrivanje novih sigurnosnih informacija. Prijavom svih sumnji na nuspojavu i Vi možete pomoći. Upute za prijavljivanje dostupne su na [www.halmed.hr](http://www.halmed.hr)

Ovaj edukacijski materijal možete pronaći na internetskim stranicama Agencije za lijekove i medicinske proizvode (HALMED) u dijelu Farmakovigilancija/Mjere minimizacije rizika.



# Razumijevanje rizika uz Zolgensmu

**Važni utvrđeni rizici nakon liječenja Zolgensmom navedeni su u nastavku. Pročitajte sažetak opisa svojstava lijeka za cjelovite sigurnosne informacije i informacije o lijeku, jer postoje i druga upozorenja i mjere opreza za Zolgensmu.**

## Važne sigurnosne informacije

### Hepatotoksičnost

Imunološki posredovana hepatotoksičnost nakon liječenja Zolgensmom općenito se manifestira povišenim razinama alanin transaminaze (ALT) i/ili aspartat aminotransferaze (AST).



Uz Zolgensmu su zabilježeni slučajevi akutne ozbiljne ozljede jetre i akutnog zatajenja jetre, uključujući i sa smrtnim ishodom. To se obično javlja unutar dva mjeseca nakon liječenja i usprkos primjeni kortikosteroida prije i nakon infuzije.

Hepatotoksičnost bi mogla zahtijevati prilagodbu imunomodulatornog režima uključujući dulje trajanje, povećanu dozu ili produljenje postupnog smanjivanja doze kortikosteroida

### Trombotska mikroangiopatija

Zolgensma može povećati rizik od trombotske mikroangiopatije (TMA), općenito unutar prva dva tjedna nakon liječenja.



TMA je akutno i po život opasno stanje koje obilježavaju trombocitopenija, mikroangiopatska hemolitička anemija i akutna ozljeda bubrega. Uz liječenje Zolgensmom opaženi su i smrtni ishodi. Istodobna aktivacija imunološkog sustava (npr. uslijed infekcije, nakon cijepljenja) također je zabilježena kao mogući okidač.

Ako bolesnici pokazuju znakove, simptome ili laboratorijske nalaze koji odgovaraju TMA-u, potrebno je odmah se posavjetovati sa specijalistom da bi se TMA zbrinuo prema kliničkim indikacijama.

### Dodatna upozorenja i mjere opreza uz Zolgensmu između ostalih uključuju sljedeće:



- Trombocitopenija
- Nakon infuzije Zolgensme opažena su prolazna smanjenja broja trombocita (trombocitopenija). U većini slučajeva najniži broj trombocita bio je u prvom tjednu nakon infuzije Zolgensme
- Troponin-I
- Opažena su povećanja razina srčanog troponina-I nakon infuzije Zolgensme

**Napominjemo da dodatna upozorenja i mjere opreza povezane sa Zolgensmom nisu ograničene na one navedene u ovom vodiču. Pročitajte sažetak opisa svojstava lijeka ili se obratite Novartisovom predstavniku za cjelovite sigurnosne informacije za Zolgensmu.**



**Pogledajte dio 4.4 sažetak opisa svojstava lijeka za daljnje informacije o upozorenjima i mjerama opreza kod primjene Zolgensme.**

# Ublažavanje mogućih rizika uz Zolgensmu

## 1. Prije liječenja

**Obavijestite njegovatelja(e) o glavnim rizicima povezanim sa Zolgensmom te njihovim znakovima i simptomima, uključujući između ostaloga o trombotskoj mikroangiopatiji, zatajenju jetre i trombocitopeniji.**

### Krvne pretrage

Nakon prirodnog izlaganja može doći do stvaranja protutijela na adenoasocirani virus serotipa 9 (AAV9).

**Bolesnike treba testirati na prisutnost protutijela na AAV9 prije liječenja koristeći odgovarajući validirani test.**



Nije još poznato može li se ili pod kojim uvjetima Zolgensma sigurno i učinkovito primijeniti u prisutnosti protutijela na AAV9 iznad 1:50. Testiranje se može ponoviti ako su titri protutijela na AAV9 veći od 1:50.

Prije primjene Zolgensme potrebne su i početne laboratorijske pretrage za, između ostaloga:

- jetrenu funkciju: ALT, AST, ukupni bilirubin, albumin, protrombinsko vrijeme, parcijalno tromboplastinsko vrijeme (PTV) i međunarodni normalizirani omjer (INR)
- kreatinin
- kompletna krvna slika (uključujući hemoglobin i broj trombocita)
- troponin-I

Potrebne su redovne krvne pretrage tijekom najmanje 3 mjeseca nakon infuzije Zolgensme. Pogledajte detaljan raspored krvnih pretraga na stranicama 16–18 ovog vodiča.

AAV9, adenoasocirani virus serotipa 9; ALT, alanin transaminaza; AST, aspartat transaminaza; SmPC, sažetak opisa svojstava lijeka; TMA, trombotska mikroangiopatija; IRN, međunarodni normalizirani omjer; PTV, parcijalno tromboplastinsko vrijeme.

## OBAVIJESTITE NJGOVATELJA(E) O POTREBI REDOVITOG UZIMANJA UZORAKA KRVI

Njegovatelje je potrebno uputiti da će krvne pretrage biti potrebne tijekom najmanje 3 mjeseca nakon liječenja Zolgensmom. Važno je pridržavati se rasporeda praćenja krvnih pretraga da bi se postigli najbolji ishodi za bolesnike. Termine za krvne pretrage treba dogovoriti i rezervirati prije liječenja.

### Doziranje kortikosteroida

Imunološki odgovor na AAV9 kapsidu razvit će se nakon primjene Zolgensme i dovesti do:



povišenja jetrenih aminotferaza



povišenja troponina-I



smanjenog broja trombocita

Za ublažavanje imunološkog odgovora preporučuje se imunomodulacija kortikosteroidima **24 sati prije infuzije Zolgensme preporučuje se započeti režim kortikosteroida.**



Preporučuje se propisati sljedeće za početak:

**Prednizolon 1 mg/kg/dan peroralno (ili ekvivalent ako se koristi neki drugi kortikosteroid)**

## OBAVIJESTITE NJGOVATELJA(E) O VAŽNOSTI MEDIKACIJE KORTIKOSTEROIDOM

Obavijestite njegovatelja da vas mora hitno obavijestiti ako dođe do povraćanja, kako bi se osiguralo da bolesnik ne propusti dozu kortikosteroida.

Ako u bilo kojem trenutku bolesnik nema adekvatan odgovor na ekvivalent peroralnog prednizolona u dozi od 1 mg/kg/dan, na temelju bolesnikovog kliničkog tijeka, treba razmotriti hitno savjetovanje s pedijatrijskim gastroenterologom ili hepatologom i prilagodbu preporučenog imunomodulatornog režima, uključujući povećanje doze, dulje trajanje ili produljenje postupnog smanjivanja doze kortikosteroida.

### Opće zdravstveno stanje

Zbog povećanog rizika od ozbiljnog sistemskog imunološkog odgovora, preporučuje se da bolesnici budu klinički stabilni u pogledu općeg zdravstvenog stanja, što uključuje i hidrataciju i nutritivni status te odsutnost infekcije.



**OBAVIJESTITE NJEGOVATELJA(E) O POTREBI POVEĆANE BUDNOSTI U SPRJEČAVANJU, PRAĆENJU I ZBRINJAVANJU INFEKCIJA PRIJE I NAKON INFUZIJE ZOLGENSME.**

#### Njegovatelj mora:

- biti obaviješten o znakovima i simptomima koji ukazuju na infekciju. Ako bolesnik pokazuje bilo kakve znakove i simptome, moraju Vas hitno kontaktirati
- pomoći spriječiti infekcije izbjegavanjem situacija koje bi mogle povećati rizik od infekcije kod bolesnika, primjerice pazeći na higijenu ruku, pravilno ponašanje kod kašljanja/kihanja te ograničavajući potencijalne kontakte

**U slučaju akutnih ili kroničnih nekontroliranih aktivnih infekcija, liječenje treba odgoditi dok se infekcija ne povuče i dok bolesnik ne bude klinički stabilan.**

### Raspored cijepljenja

Prije početka liječenja potrebno je pregledati bolesnikov raspored cijepljenja.

Kada je to izvedivo, raspored cijepljenja treba prilagoditi kako bi se uklopila primjena kortikosteroida prije i nakon infuzije Zolgensme.

Preporučuje se profilaksa protiv sezonskog respiratornog sincicijskog virusa (RSV) te njezino ažuriranje. Živa cjepiva, kao što su cjepiva protiv ospica, zaušnjaka i rubeole (MMR) te varičela, ne smiju se primjenjivati bolesnicima koji su na imunosupresivnoj dozi steroida.



### Tjelesna težina

Bolesnici će dobiti dozu od nominalno 1,1 x 10<sup>14</sup> vg/kg Zolgensme. Ukupni volumen Zolgensme koji će bolesnik primiti odredit će se prema tjelesnoj težini. Bolesnika je potrebno izvagati prije liječenja kako bi se osiguralo da dobije ispravnu dozu.



## 2. U vrijeme infuzije

### Opće zdravstveno stanje

Provjerite je li bolesnikovo opće zdravstveno stanje primjereno za infuziju (npr. da nema infekcija) ili je potrebno odgoditi infuziju.

Liječenje se ne smije započeti dok su prisutne aktivne infekcije, bilo akutne (npr. akutne respiratorne infekcije ili akutni hepatitis) ili nekontrolirane kronične (kao što je kronični aktivni hepatitis B), dok se infekcija ne povuče. Ako bolesnik pokazuje bilo kakve znakove ili simptome koji ukazuju na infekciju, liječenje se mora odgoditi.



! U slučaju akutnih ili kroničnih nekontroliranih aktivnih infekcija, liječenje se mora odgoditi dok se infekcija ne povuče i dok bolesnik ne bude klinički stabilan.

### Bolesnikova težina

Doza Zolgensme ovisi o tjelesnoj težini.

Ako dođe do kašnjenja između naručivanja Zolgensme i infuzije, bolesnika je potrebno ponovno izvagati kako bi se osigurala ispravna doza Zolgensme.



! Odmah se obratite Novartisima ako ste zabrinuti oko promjene bolesnikove težine koja je nastupila nakon naručivanja bolesnikove doze Zolgensme.

### Doziranje kortikosteroida

Provjerite da je terapija kortikosteroidima započela 24 sata prije infuzije Zolgensme.

Da bi se ublažio imunološki odgovor, bolesnici trebaju započeti imunomodulatorni režim s kortikosteroidima a prva se doza mora primijeniti 24 sata prije liječenja Zolgensmom. Na dan liječenja Zolgensmom bolesnik treba nastaviti režim i primiti sljedeću dozu kortikosteroida:

**Prednizolon 1 mg/kg/dan peroralno (ili ekvivalent ako se koristi neku drugi kortikosteroid)**

Imunomodulatorni se režim zatim treba nastaviti tijekom 28 dana nakon infuzije Zolgensme. O doziranju kortikosteroida nakon infuzije pročitajte na stranici 13.



! Ako u bilo kojem trenutku bolesnik nema adekvatan odgovor na ekvivalent 1 mg/kg/dan peroralnog prednizolona, na temelju bolesnikovog kliničkog tijeka, potrebno je odmah razmotriti savjetovanje s pedijatrijskim gastroenterologom ili hepatologom i prilagodbu preporučenog imunomodulatornog režima, što može uključivati i povećavanje doze, dulje trajanje ili produljenje postupnog smanjivanja doze kortikosteroida.

### Infuzija lijeka Zolgensma

Zolgensma je namijenjena samo za jednokratnu intravensku infuziju.

Zolgensma se treba primijeniti infuzijskom pumpom kao jednokratna spora infuzija u trajanju od oko 60 minuta. Preporučuje se uvođenje sekundarnog „rezervnog“ katetera.

Lijek se smije primijeniti samo kao intravenska infuzija. **Ne smije se primijeniti brzom intravenskom injekcijom ili intravenskim bolusom.** Nakon dovršetka infuzije liniju je potrebno isprati fiziološkom otopinom.



! Pogledajte dio 4.2 sažetka opisa svojstava lijeka za važne informacije o doziranju i primjeni Zolgensme.

**Zolgensma sadži genetski modificirane organizme. Zato trebate poduzeti odgovarajuće mjere opreza kod rukovanja ili primjene Zolgensme.**

Za detaljne upute o pripremi, rukovanju, slučajnom izlaganju ili zbrinjavanju (uključujući pravilno rukovanje tjelesnim izlučevinama), pročitajte Sažetak opisa svojstava lijeka.



### 3. Nakon infuzije

#### Doziranje kortikosteroida nakon Zolgensme

Liječenje kortikosteroidima mora se nastaviti najmanje 2 mjeseca i doza se ne smije smanjivati dok AST/ALT ne budu manji od 2 x gornja granica normale (GGN) i dok se sve ostale pretrage, npr. ukupni bilirubin, ne vrate u normalan raspon.

Ovo će razdoblje možda trebati produžiti ako se bolesnikovi jetreni enzimi ne smanje dovoljno brzo, dok se ne smanje na prihvatljivu razinu. Doza kortikosteroida koja se daje bolesniku treba se tada polako smanjivati dok se liječenje ne bude moglo u potpunosti prekinuti.

**Prednizolon 1 mg/kg/dan treba se davati peroralno (ili ekvivalent ako se koristi neki drugi kortikosteroid) tijekom 28 dana nakon primjene Zolgensme.**

Na kraju cjelokupnog 30-dnevnog razdoblja režima kortikosteroida (prije i nakon infuzije), bolesnicima treba provjeriti jetrenu funkciju.



**Za bolesnike s neupadljivim nalazima (normalan klinički pregled, ukupni bilirubin i oni čiji su ALT i AST ispod 2 x GGN na kraju cjelokupnog 30-dnevnog razdoblja):**

Postupno smanjivati dozu prednizolona (ili ekvivalenta) tijekom 28 dana

- na primjer: 2 tjedna uz 0,5 mg/kg/dan i zatim 2 tjedna uz 0,25 mg/kg/dan peroralnog prednizolona



**Za bolesnike s poremećenom jetrenom funkcijom na kraju cjelokupnog 30-dnevnog razdoblja:**

Nastaviti s prednizolonom dok AST i ALT ne budu ispod 2 x GGN i dok se rezultati svih drugih pretraga ne vrate u normalan raspon, nakon čega slijedi smanjivanje doze tijekom 28 dana ili dulje ako je potrebno.



- **Potrebno je savjetovati se s pedijatrijskim gastroenterologom ili hepatologom ako bolesnici nemaju adekvatan odgovor na ekvivalent 1 mg/kg/dan peroralnog prednizolona. Ako se terapija peroralnim kortikosteroidom ne podnosi, može se razmotriti intravenski kortikosteroid prema kliničkim indikacijama.**

ALT, alanin transaminaza; AST, aspartat transaminaza; GGN, gornja granica normale.

#### Redovite krvne pretrage

Pažljivo i redovito praćenje (kliničko i laboratorijsko) pojedinog bolesnika treba se provoditi najmanje 3 mjeseca nakon infuzije Zolgensme.

**Jetrenu funkciju (ALT, AST, ukupni bilirubin) treba pratiti u redovitim intervalima tijekom najmanje 3 mjeseca nakon infuzije Zolgensme.**



Pretrage treba provoditi:

- svaki tjedan tijekom prvog mjeseca te tijekom cijelog razdoblja smanjivanja doze kortikosteroida
- svaka 2 tjedna tijekom narednog mjeseca te u drugim vremenskim točkama prema kliničkim indikacijama

Bolesnike s pogoršanjem nalaza testova jetrene funkcije i/ili znakovima ili simptomima akutne bolesti treba odmah pregledati i pažljivo nadzirati.

**Ako bolesnici ne odgovore na kortikosteroide ili ako postoji sumnja na ozljedu jetre, posavjetujte se s gastroenterologom ili hepatologom.**

**Broj trombocita treba pažljivo pratiti tijekom prva 2 tjedna nakon infuzije te redovito nakon toga.**

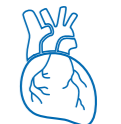


Nakon liječenja Zolgensmom broj trombocita treba pratiti:

- barem jednom tjedno tijekom prvog mjeseca
- svaki drugi tjedan tijekom drugog i trećeg mjeseca dok se broj trombocita ne vrati na početnu vrijednost

**Ako postoji sumnja na TMA, posavjetujte se sa specijalistom.**

**Razine troponina-I treba pratiti najmanje 3 mjeseca nakon infuzije Zolgensme ili dok se razine ne vrate u normalan referentni raspon za bolesnike sa SMA-om.**



Razmotrite savjetovanje sa kardiologom prema potrebi.

## Privremeno izlučivanje

Može se pojaviti privremeno izlučivanje Zolgensme, prvenstveno kroz tjelesne izlučevine, tijekom najmanje 1 mjesec nakon liječenja Zolgensmom.



Dajte njegovatelju praktične savjete o zbrinjavanju tjelesnih izlučevina koje treba slijediti najmanje 1 mjesec nakon što dijete primi terapiju Zolgensmom.



**Nosite zaštitne rukavice** kada dolazite u kontakt s tjelesnim tekućinama ili izlučevinama



**Temeljito operite ruke** nakon toga sapunom i toplom vodom ili dezinficijensom za ruke na bazi alkohola



**Koristite dvostruke plastične vrećice** za odlaganje prljavih pelena ili drugog otpada. Jednokratne pelene i dalje se mogu odlagati u kućni otpad.

## Raspored krvnih pretraga

### 1. mjesec nakon liječenja Zolgensmom (30 dana)



### Krvne pretrage

Tijekom prvog mjeseca nakon liječenja Zolgensmom vašem će bolesniku biti potrebe **tjedne krvne pretrage radi provjere jetrene funkcije i broja trombocita u krvi**. Razine troponina-I treba pratiti najmanje 3 mjeseca ili dok se razine ne vrate unutar normalnog referentnog raspona za bolesnike sa SMA-om. Tablica u nastavku može se koristiti kao vodič za raspored krvnih pretraga.

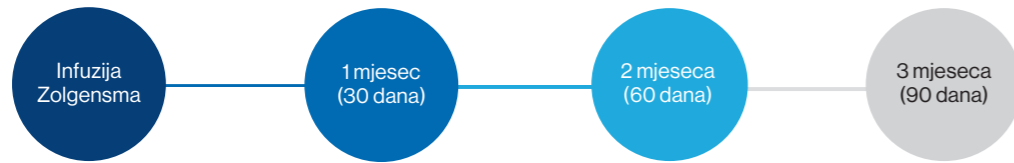


Broj tjedana nakon liječenja Zolgensmom	Krvne pretrage
<b>Troponin-I</b> (ako se razine nisu vratile u normalan referentni raspon za bolesnike sa SMA-om)	
1. tjedan	• Jetrena funkcija • Broj trombocita
2. tjedan	• Jetrena funkcija • Broj trombocita
3. tjedan	• Jetrena funkcija • Broj trombocita
4. tjedan	• Jetrena funkcija • Broj trombocita

SMA, spinalna mišićna atrofija.



## 2. mjesec nakon liječenja Zolgensmom (60 dana)



### Krvne pretrage

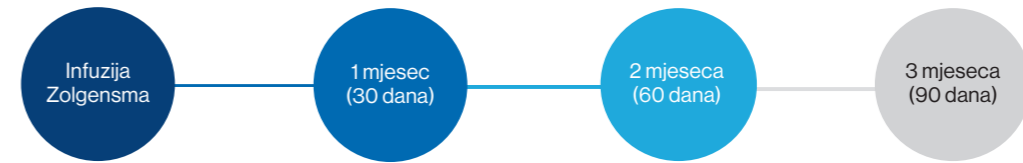
Tijekom drugog mjeseca nakon liječenja Zolgensmom vašem će bolesniku biti potrebne **tjedne krvne pretrage radi provjere jetrene funkcije. Broj trombocita u krvi treba pratiti svaki drugi tjedan** dok se ne vrati na početnu vrijednost. Razine troponina-I treba pratiti najmanje 3 mjeseca ili dok se razine ne vrate u normalan referentni raspon za bolesnike sa SMA-om. Tablica u nastavku može se koristiti kao vodič za raspored krvnih pretraga.



Broj tjedana nakon liječenja Zolgensmom	Krvne pretrage
<b>Troponin-I</b> (ako se razine nisu vratile u normalan referentni raspon za bolesnike sa SMA-om)	
5. tjedan	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Jetrena funkcija</li> <li>• Broj trombocita</li> </ul>
6. tjedan	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Jetrena funkcija</li> <li>• Broj trombocita</li> </ul>
7. tjedan	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Jetrena funkcija</li> <li>• Broj trombocita</li> </ul>
8. tjedan	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Jetrena funkcija</li> <li>• Broj trombocita</li> </ul>

SMA, spinalna mišićna atrofija.

## 3. mjesec nakon liječenja Zolgensmom (90 dana)



### Krvne pretrage

Tijekom trećeg mjeseca nakon liječenja Zolgensmom vašem će bolesniku biti potrebne **tjedne krvne pretrage radi provjere jetrene funkcije i broja trombocita u krvi (ako se nije vratio na početnu vrijednost). Razine troponina-I treba pratiti najmanje 3 mjeseca ili dok se razine ne vrate u normalan referentni raspon za bolesnike sa SMA-om. Tablica u nastavku može se koristiti kao vodič za raspored krvnih pretraga.**



Broj tjedana nakon liječenja Zolgensmom	Krvne pretrage
<b>Troponin-I</b> (ako se razine nisu vratile u normalan referentni raspon za bolesnike sa SMA-om)	
9. tjedan	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Jetrena funkcija</li> <li>• Broj trombocita</li> </ul>
10. tjedan	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Jetrena funkcija</li> <li>• Broj trombocita</li> </ul>

#### Nakon 3. mjeseca mogle bi biti potrebe daljnje krvne pretrage i praćenje u određenim slučajevima, koji su navedeni u nastavku.

- Jetrenu funkciju treba nastaviti pratiti svaki tjedan do kraja razdoblja smanjivanja doze kortikosteroida te u drugim vremenskim točkama prema kliničkim indikacijama.
- Broj trombocita treba nastaviti pratiti svaka 2 tjedna dok se ne vrati na početnu vrijednost.
- Razine troponina-I treba pratiti dok se razine ne vrate u normalan referentni raspon za bolesnike sa SMA-om.

SMA, spinalna mišićna atrofija.

## Sažeta kontrolna lista

**Kontrolna lista u nastavku sažetak je mjera koje treba poduzeti prije početka, u vrijeme i nakon infuzije Zolgensme kako bi se ublažili mogući rizici povezani s liječenjem Zolgensmom:**

### Prije početka liječenja

- Obavijestite njegovatelja o:
  - glavnim rizicima uz Zolgensma te njihovim znakovima i simptomima, uključujući TMA, zatajenje jetre i trombocitopeniju
  - praktičnim savjetima za zbrinjavanje tjelesnih izlučevina
  - potrebi za redovitim uzimanjem uzoraka krvi
  - važnosti medikacije kortikosteroidima
  - potrebi za povećanom budnošću u sprječavanju, praćenju i zbrinjavanju infekcije prije i nakon liječenja Zolgensmom
- Napravite krvne pretrage, uključujući testiranje na prisutnost protutijela na AAV9 radi utvrđivanja početnih razina
- Primijenite dozu kortikosteroida radi smanjenja imunološkog odgovora
- Pregledajte raspored cijepljenja kako biste odlučili treba li ga prilagoditi
- Provjerite opće zdravstveno stanje jer se liječenje mora odgoditi ako postoje znakovi ili simptomi koji ukazuju na infekciju
- Provjerite bolesnikovu tjelesnu težinu kako biste osigurali da bolesnik primi ispravnu dozu Zolgensme

### U vrijeme infuzije

- Provjerite je li opće zdravstveno stanje bolesnika primjereno za infuziju (npr. da nema infekcija) ili je infuziju potrebno odgoditi
- Provjerite je li primijenjena doza kortikosteroida prije infuzije Zolgensme i primijenite sljedeću dozu radi smanjivanja imunološkog odgovora
- Provjerite bolesnikovu tjelesnu težinu kako biste osigurali da bolesnik primi ispravnu dozu Zolgensme
- Infuzija Zolgensme daje se samo jedanput
- Odgovarajuće rukovanje Zolgensmom je nužno

### Nakon infuzije

- Liječenje kortikosteroidima treba nastaviti najmanje 2 mjeseca i doza se ne smije smanjivati dok AST/ALT ne budu ispod 2 x GGN i dok se nalazi svih drugih pretraga, npr. bilirubina, ne vrate u normalan raspon

AAV9; adenoasocirani virus serotipa 9; ALT, alanin transaminaza; AST, aspartat aminotransferaza; TMA, trombotska mikroangiopatija; GGN, gornja granica normale.

- Pažljivo i redovito praćenje (kliničko i laboratorijsko) pojedinog bolesnika treba se provoditi barem 3 mjeseca
- Hitni pregled bolesnika s pogoršanjem na testovima jetrene funkcije i/ili znakovima ili simptomima akutne bolesti
- Ako bolesnik nema adekvatan odgovor na kortikosteroide ili ako postoji sumnja na ozljedu jetre, potrebno je posavjetovati se s pedijatrijskim gastroenterologom ili hepatologom
- Ako se sumnja na TMA, potrebno je posavjetovati se sa specijalistom

**! Proučite sažetak opisa svojstava lijeka za cjelovite informacije o sigurnosti i propisivanju lijeka jer za Zolgensmu postoje i druga upozorenja i mjere opreza.**

### Prijavljivanje nuspojava

Nakon dobivanja odobrenja lijeka važno je prijavljivanje sumnji na njegove nuspojave. Time se omogućuje kontinuirano praćenje omjera koristi i rizika lijeka. Sve sumnje na nuspojave potrebno je prijaviti Agenciji za lijekove i medicinske proizvode (HALMED). HALMED poziva zdravstvene radnike da prijave sumnje na nuspojave putem informacijskog sustava OPeN koji je dostupan na internetskim stranicama HALMED-a (<https://open.halmed.hr>).

U slučaju dodatnih pitanja ili potrebe za dodatnim primjercima edukacijskog materijala, molimo Vas da se obratite nositelju odobrenja poduzeću **Novartis Hrvatska d.o.o.**,

tel. ....

e-mail: .....

# Korisni kontakti

Area with horizontal dotted lines for user input.



**Novartis Hrvatska d.o.o.**  
Radnicka cesta 37b  
HR-10000 Zagreb  
Tel. +385 1 6274 220  
e-mail: [prijava.nuspojave@novartis.hr](mailto:prijava.nuspojave@novartis.hr)

Broj odobrenja: HR2307240300  
Datum sastavljanja: 24.7.2023.

Ovu je brošuru izradio Novartisov odjel za genske terapije. Navedene informacije imaju samo edukativnu svrhu i ne zamjenjuju razgovore s liječnikom ili timom koji pruža skrb. Informacije se odnose na spinalnu mišićnu atrofiju i svrha im je dati opći pregled.

Verzija 1, lipanj 2023.