



Průvodce pro pečovatele o léčbě přípravkem ZOLGENSMA®

Váš ošetřující lékař Vám dal k dispozici tohoto průvodce, protože byl Vašemu dítěti předepsán přípravek Zolgensma®. Cílem tohoto průvodce je poskytnout praktické informace a podpořit tak komunikaci s ošetřujícím lékařem. Měla by být čtena společně s příbalovou informací pro pacienta.

▼ Tento přípravek podléhá dalšímu sledování. To umožní rychlé získání nových informací o bezpečnosti. Můžete přispět tím, že nahlásíte jakékoli nežádoucí účinky, které se u Vašeho dítěte vyskytnou.

Přehled nežádoucích účinků v této příručce není úplný a je třeba se seznámit i s možnými dalšími nežádoucími účinky, jejichž výčet naleznete v **Příbalové informaci pro pacienta**. Příbalová informace pro pacienta (PIL) je distribuována v každém balení léčivého přípravku, společně s touto příručkou a lze ji také vyhledat na <http://www.olecich.cz> po zadání názvu léčivého přípravku pod zkratkou PIL.

Pokud se u Vašeho dítěte vyskytne kterýkoli z nežádoucích účinků, sdělte to ošetřujícímu lékaři nebo lékárníkovi. Stejně postupujte i v případě jakýchkoli nežádoucích účinků, které nejsou uvedeny v příbalové informaci. Nežádoucí účinky můžete hlásit také přímo prostřednictvím národního systému hlášení nežádoucích účinků. Do hlášení je třeba doplnit i přesný obchodní název a číslo šarže.

Podrobnosti o hlášení najdete na:

<http://www.olecich.cz/hlaseni-pro-sukl/nahlasit-nezadouci-ucinek>

Adresa pro zasílání je Státní ústav pro kontrolu léčiv, odbor farmakovigilance, Šrobárova 48, Praha 10, 100 41, e-mail: farmakovigilance@sukl.cz.

Tato informace může být také hlášena společnosti Novartis na adresu:

Novartis s.r.o., Gemini, budova B
Na Pankráci 1724/129, 140 00 Praha 4
tel: +420 225 775 111
fax: +420 225 775 445
e-mail: safety.cz@novartis.com

Tento průvodce byl připraven tak, aby Vám poskytl užitečné informace o:

- **Onemocnění SMA**
- **Přípravku Zolgensma a jeho účincích**
- **Důležitých faktech týkajících se bezpečnosti a možných nežádoucích účinků přípravku Zolgensma**
- **Jednotlivých krocích při léčbě přípravkem Zolgensma**

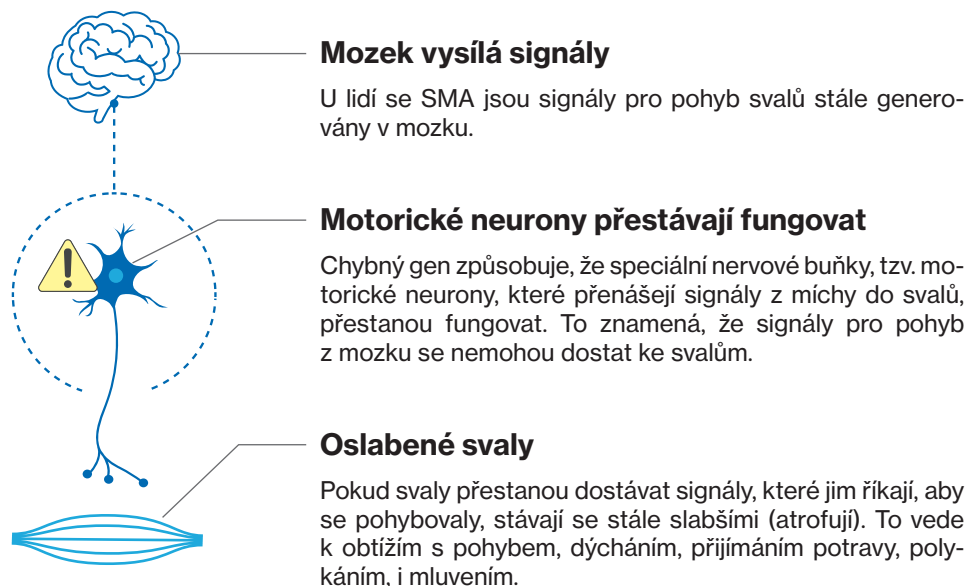
Máte-li jakékoli dotazy nebo obavy týkající se přípravku Zolgensma, poraďte se s Vaším ošetřujícím lékařem nebo zdravotní sestrou.

Co obsahuje tento průvodce?

O SMA	4
• Co je SMA?	4
• Jaké jsou typy SMA?	5
• Co způsobuje SMA?	6
• U koho vzniká SMA?	7
O přípravku Zolgensma	8
Informace o přípravku a jeho účincích	
Významná rizika léčby	9
Důležité informace týkající se bezpečnosti a možných nežádoucích účinků	
Léčba přípravkem Zolgensma	13
• Před léčbou	14
• Den léčby	16
• Po léčbě	17
Místní SMA asociace	21
Běžná slova, kterým je třeba porozumět	22
Užitečné definice pojmů použitých v tomto průvodci	
Poznámky	23

Co je SMA?

Spinální svalová atrofie (SMA) je vzácné genetické onemocnění, při kterém dochází ke ztrátě nervů, což způsobuje svalovou slabost. Dochází k tomu proto, že speciální nervové buňky v těle, které řídí pohyb svalů, zvané motorické neurony, se zhoršují a přestávají fungovat.



U SMA se schopnost myslet, učit se a navazovat lidské vztahy nezměnila.

Jaké jsou příznaky SMA?

SMA má celou řadu příznaků, které se mohou u jednotlivých osob lišit podle závažnosti. SMA může ovlivňovat každodenní činnosti, jako je dýchání, přijímání potravy, sezení, plazení a chůze. Čím dříve se příznaky SMA objeví, tím je nemoc pravděpodobně závažnější.

Jaké jsou různé typy SMA?

Při stanovení diagnózy mohou být jedinci s SMA rozděleni do SMA typů podle věku při nástupu a maximální funkční schopnosti neboli „motorického milníku“. Mezi motorické milníky, které jsou důležité pro pochopení typu SMA, patří schopnost:



Zvednout hlavu



Uchopit něco do ruky



Lézt



Sedět



Přetáčet se



Stát a chodit

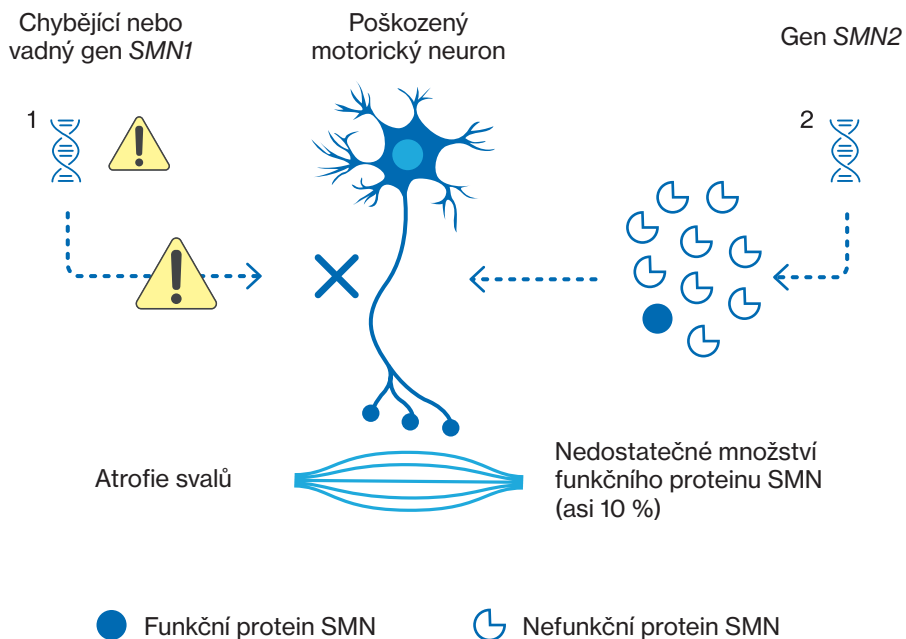
Věk na začátku onemocnění	Narození	≤ 6 měsíců	6–18 měsíců	> 18 měsíců	≥ 18 let
Funkční schopnost	Plod může být postižen před narozením	Neschopnost samostatně sedět	Schopen sedět, může stát, neschopen chodit samostatně	Schopen chodit samostatně	Schopen chodit samostatně i v dospělosti
Klasifikace	SMA typ 0	SMA typ 1	SMA typ 2	SMA typ 3	SMA typ 4
Závažnost	Dřívější nástup projevů, závažnější typ Pozdější nástup projevů, méně závažný typ				

Bez zásahu nebo léčby mají děti s těžšími formami SMA zkrácenou délku života. Včasným lékařským zásahem a léčbou lze zhoršování stavu zpomalit a děti jsou často schopny dosáhnout milníků, které se při přirozeném průběhu nemoci dosahují jen zřídka.

Co způsobuje SMA?

Pro správnou funkci motorických neuronů je nezbytný protein zvaný protein SMN (survival motor neuron, protein nezbytný pro přežití motorických neuronů). Bez proteinu SMN přestávají motorické neurony v míše pracovat a svaly slábnou. Protein SMN se v těle vytváří z genů *SMN*.

U SMA je hlavní gen *SMN* známý jako *SMN1* vadný, nebo chybí. Existuje druhý gen *SMN* známý jako *SMN2*, který funguje spíše jako „záložní“ a produkuje pouze malé množství proteinu SMN. Při SMA se nevytváří dostatek bílkovin SMN a motorické neurony přestávají pracovat, což způsobuje oslabení svalů.

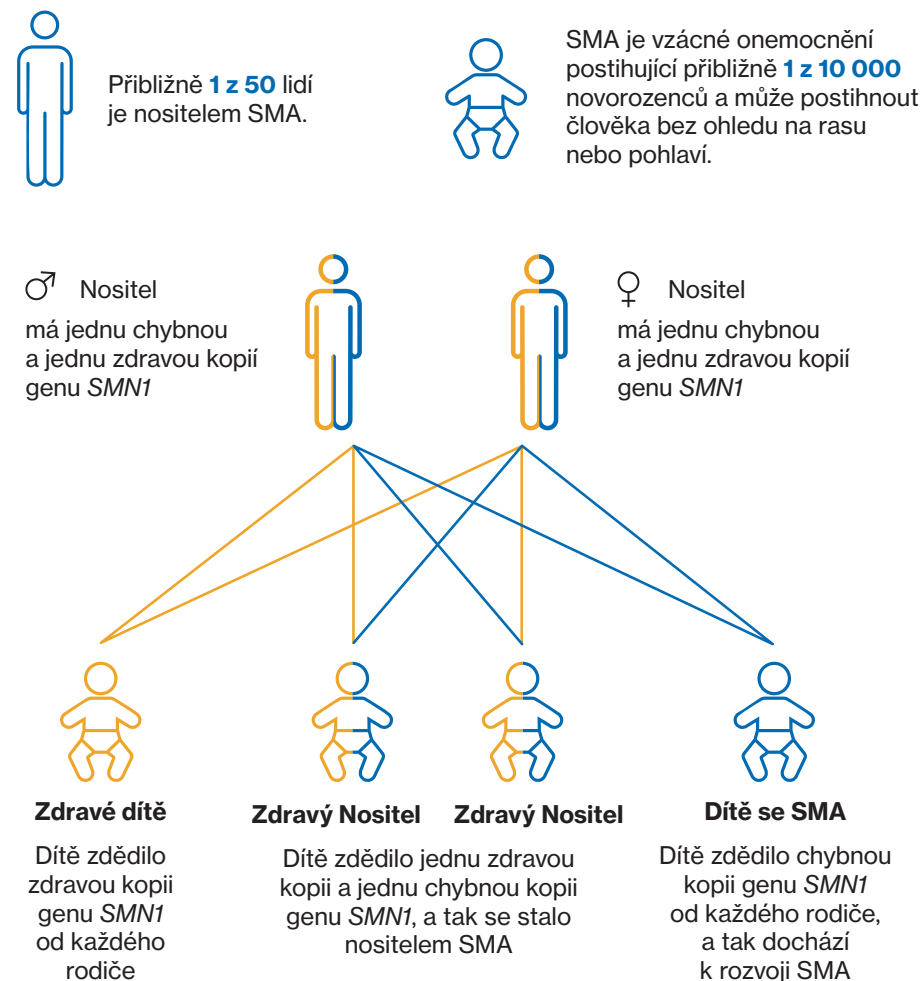


U koho vzniká SMA?

SMA je obvykle dědičná, i když občas je způsobena náhodnou chybou v genu *SMN1*.

Děti dědí dvě kopie genu *SMN1*, po jedné kopii od každého z rodičů. Polovina genetické informace dítěte pochází od matky a polovina od otce.

Lidé s jednou zdravou a jednou chybnou kopií genu *SMN1* se nazývají přenašeči, obvykle nevykazují žádné příznaky SMA. Pokud jsou oba rodiče přenašeči, existuje 25% pravděpodobnost, že dítě zdědí a rozvine se u něj SMA.



O přípravku Zolgensma

Přípravek Zolgensma se používá k léčbě kojenců a malých dětí se SMA. Přípravek Zolgensma je typ léčby nazývaný genová terapie.

Přípravek Zolgensma je tvořen modifikovaným virem AAV9, který obsahuje plně funkční kopii genu *SMN* (gen, který je při SMA vadný). Přípravek funguje tak, že dodává plně funkční kopii genu *SMN*, která pak pomáhá tělu produkovat dostatek proteinu SMN. Kopie genu *SMN* je přenesena do buněk, které ho potřebují pomocí nosiče pro gen, který se nazývá „vektor“.

Vektor, který dodává gen *SMN*, je vyroben z upraveného viru nazývaného adeno-asociovaný virus 9 neboli AAV9. Tento typ upraveného viru nezpůsobuje onemocnění. Při jeho tvorbě se odstraní většina virové DNA a místo ní se dovnitř viru vloží nový gen *SMN*.



1

V přípravku Zolgensma je gen *SMN* umístěn v modifikovaném viru (AAV9), který u lidí nezpůsobuje onemocnění.



2

Přípravek Zolgensma se podává dítěti intravenózně (do žíly).



3

Modifikovaný virus v přípravku Zolgensma prochází tělem a přenáší gen *SMN* do buněk, kde je potřebný.



4

Dodáním plně funkční kopie genu *SMN*, přípravek Zolgensma pomáhá tělu produkovat dostatek proteinu SMN.



AAV, adeno-asociovaný virus; DNA, deoxyribonukleová kyselina; SMA, spinální svalová atrofie; *SMN*, gen potřebný k výrobě SMN proteinu; SMN, protein nezbytný pro přežití motorických neuronů.

Přípravek Zolgensma v pokročilém stádiu SMA

Přípravek Zolgensma může zachránit motorické neurony, které jsou stále životaschopné, nedokáže však pomoci již odumřelým motorickým neuronům. Děti s méně závažnými příznaky SMA mohou mít dostatek živých motorických neuronů, aby z léčby přípravkem Zolgensma měly prospěch. U dětí s těžkými příznaky nemusí přípravek Zolgensma fungovat stejně dobře.

Porozumění rizikům léčby přípravkem Zolgensma

Podobně jako všechny léky, může mít i Zolgensma nežádoucí účinky, které se ale nemusí vyskytnout u každého.

POKUD SE U VAŠEHO DÍTĚTE PROJEVÍ JAKÉKOLI NEŽÁDOUCÍ ÚČINKY, IHED KONTAKTUJTE OŠETŘUJÍCÍHO LÉKAŘE, NEBO ZDRAVOTNÍ SESTRU.



Důležité bezpečnostní informace a kdy vyhledat lékařskou pomoc



Jaterní problémy

Pokud Vaše dítě má nebo mělo nějaké problémy s játry, informujte o tom lékařský tým dříve, než mu bude tento přípravek podán. V některých případech může přípravek Zolgensma vyvolat imunitní reakci, která by mohla vést ke zvýšení enzymů (bílkovin nacházejících se v těle) produkovaných játry nebo k poškození jater.

Poškození jater může vést k závažným následkům, včetně selhání jater a smrti. Možné příznaky, které je potřeba sledovat po podání tohoto léku Vašemu dítěti, zahrnují zvracení, žloutenku (zežloutnutí kůže nebo bělma očí) nebo sníženou bdělost. Pokud si všimnete, že se u Vašeho dítěte objeví jakékoli příznaky naznačující poškození jater, ihned to sdělte lékaři Vašeho dítěte.

SMA, spinální svalová atrofie.



Porucha srážení krve

Přípravek Zolgensma zvyšuje riziko vzniku krevních sraženin v malých cévách (trombotická mikroangiopatie), a to obvykle během prvních 2 týdnů po infuzi. Tyto krevní sraženiny mohou poškodit ledviny Vašeho dítěte. Ihned informujte ošetřujícího lékaře, pokud si všimnete známek a příznaků, jako je vysoká náchylnost ke vzniku modřin, epileptické záchvaty (křeče) nebo snížený výdej moči.

Těmto příznakům a projevům je třeba věnovat mimořádně velkou pozornost, protože abnormální srážení krve (trombotická mikroangiopatie) je závažné a může být život ohrožující, pokud není okamžitě léčeno.



Nízký počet krevních destiček

Přípravek Zolgensma může snižovat počet krevních destiček (trombocytopenie), obvykle během prvních 3 týdnů po infuzi, což může také způsobit poruchy srážení krve. Možné příznaky nízkého počtu krevních destiček, které je potřeba sledovat poté, zahrnují snadný vznik modřin nebo krvácení.

Obráťte se okamžitě na svého lékaře, pokud si všimnete příznaků, jako jsou modřiny nebo krvácení po poranění trvající delší dobu než obvykle.



Zvýšený troponin-I

Přípravek Zolgensma může zvýšit hladinu srdečního proteinu zvaného troponin-I, což může ukazovat na poškození srdce. Proto musíte věnovat pozornost možným známkám srdečních potíží u Vašeho dítěte, jako je světle šedá nebo modrá barva kůže nebo rtů, potíže s dýcháním (např. zrychlené dýchání, dušnost), otoky rukou a nohou nebo břicha.

Před zahájením léčby přípravkem Zolgensma budou Vašemu dítěti provedeny krevní testy ke kontrole funkce jater, ledvin, množství krevních buněk (včetně červených krvinek a krevních destiček) a hladiny troponinu-I.

Po dobu nejméně 3 měsíců po léčbě bude Vaše dítě pravidelně podstupovat odběry krve pro nezbytnou kontrolu funkcí jater a ke sledování změn hladiny krevních destiček a troponinu-I. V závislosti na hodnotách a dalších příznacích a symptomech mohou být nutná další vyšetření. O délce trvání vyšetření rozhodne lékař Vašeho dítěte.



Další informace o přípravku Zolgensma naleznete v příbalové informaci přiložené k léku Vašeho dítěte. V případě jakýchkoli dotazů se neváhejte obrátit na lékařský tým Vašeho dítěte.



Alergie

Pokud je Vaše dítě alergické na některou ze složek přípravku Zolgensma (složky jsou uvedeny v bodě 6 příbalové informace přiložené k léku), nesmí mu být přípravek Zolgensma podán.



Kortikosteroidy

Vaše dítě bude také užívat kortikosteroidy (prednisolon nebo podobnou látku) po určitou dobu před a po léčbě přípravkem Zolgensma. Délka podávání kortikosteroidů Vašemu dítěti po léčbě se bude lišit v závislosti na hodnotách jaterních enzymů a dalších příznacích a symptomech a rozhodne o ní lékař Vašeho dítěte. Tato doba bude trvat minimálně 2 měsíce.

Kortikosteroidy pomohou zvládnout imunitní reakci na přípravek Zolgensma, která by mohla vést ke zvýšení hladin jaterních enzymů a poškození jater. Dávku kortikosteroidů, kterou Vaše dítě dostane, vypočítá ošetřující lékař v závislosti na aktuální hmotnosti dítěte.

Během podávání kortikosteroidů se Vaše dítě může setkat s novými infekcemi nebo jinými obvyklými dětskými nemocemi, které mohou vyžadovat použití jiných léků. Před zahájením léčby jinými léky nebo v případě jakýchkoli dotazů týkajících se kortikosteroidů je důležité poradit se s lékařem, zdravotní sestrou nebo lékárníkem/jiným zdravotnickým pracovníkem Vašeho dítěte.



Další léčivé přípravky a přípravek Zolgensma

Přípravek Zolgensma bude Vašemu dítěti podán pouze jednou. Informujte lékaře, nebo zdravotní sestru, pokud Vaše dítě užívá, v nedávné době užívalo nebo by mohlo užívat jiné léky.



Infekce

Vaše dítě může mít kvůli kortikosteroidům oslabený imunitní systém, což znamená, že infekce, které u zdravých lidí obvykle vyvolají jen slabé nebo žádné příznaky, mohou u Vašeho dítěte způsobit závažné onemocnění. Pokud u Vašeho dítěte dojde k infekci (např. nachlazení, chřipka nebo bronchiolitida – zánět dolních úseků dýchacích cest) **před** nebo **po** léčbě přípravkem Zolgensma, mohlo by to vést k jiným závažným komplikacím, které mohou vyžadovat naléhavou lékařskou péči i hospitalizaci.

Pokud si všimnete, že se u Vašeho dítěte **před** léčbou přípravkem Zolgensma nebo **po** ní objeví jakékoli příznaky svědčící o infekci, jako např:

- Kašel
- Kýchání
- Bolest v krku
- Sípání
- Rýma
- Horečka

Okamžitě informujte ošetřujícího lékaře Vašeho dítěte.

Dostatečně dlouho dobu před léčbou přípravkem Zolgensma a po ní je důležité předcházet infekcím tím, že se vyhnete situacím, které mohou zvýšit riziko nákazy Vašeho dítěte. Vy a všichni ostatní blízcí s Vaším dítětem můžete pomoci předcházet infekcím dodržováním správné hygieny rukou, správné etikety při kašli/kýchání a omezením možných kontaktů.

Léčba přípravkem Zolgensma

Kroky popsané na následujících stránkách Vám a Vaší rodině pomohou porozumět, co můžete dále očekávat.



1. Před léčbou

Aby bylo možné rozhodnout, zda je přípravek Zolgensma pro Vaše dítě vhodný, provede lékař Vašeho dítěte před léčbou testy na protilátky.



AAV9 test na protilátky

Protilátky jsou produkovány imunitním systémem těla, aby jej chránily před onemocněním. Přítomnost určitých protilátek, nazývaných protilátky AAV9, může způsobit imunitní reakci Vašeho dítěte na přípravek Zolgensma. Aby bylo možné se rozhodnout, zda je přípravek vhodný pro Vaše dítě, provede ošetřující lékař dítěti před léčbou odběr krve na přítomnost protilátek.

Vaše dítě může mít zvýšené hladiny protilátek AAV9. Pokud se jedná o novorozené dítě, může se jednat o protilátky, které byly přeneseny z matky na dítě během těhotenství, a tyto zvýšené hodnoty se po narození často časem snižují. Pokud má Vaše dítě po prvním testu zvýšenou hladinu protilátek AAV9, bude po určité době opět testováno. Máte-li jakékoli dotazy, zeptejte se ošetřujícího lékaře.



Krevní testy

Před léčbou přípravkem Zolgensma absolvuje Vaše dítě odběry krve ke kontrole a stanovení základních hladin pro:

- Funkci jater
- Funkci ledvin
- Množství krevních buněk (včetně červených krvinek a krevních destiček)
- Hladinu Troponin-I

Tato měření pomohou ošetřujícímu lékaři porovnat a kontrolovat dané hladiny u Vašeho dítěte po infuzi.



Kortikosteroidy

24 hodin před léčbou přípravkem Zolgensma budou Vašemu dítěti podány kortikosteroidy (prednisolon nebo podobná látka), které mají snížit riziko vzrůstu hladin jaterních enzymů.

Dávku kortikosteroidů určí ošetřující lékař v závislosti na hmotnosti dítěte. Aby bylo dodrženo správné dávkování kortikosteroidů, informujte o případném zvracení před léčbou přípravkem Zolgensma ošetřujícího lékaře nebo zdravotní sestru.



Infekce

Je důležité, abyste ihned informovali ošetřujícího lékaře nebo zdravotní sestru, pokud se u Vašeho dítěte objeví příznaky svědčící o infekci **před** nebo **po** podání přípravku Zolgensma. Pokud se u Vašeho dítěte před léčbou objeví jakékoli příznaky a symptomy naznačující infekci, může být potřebné infuzi odložit, dokud infekce nevymizí, jelikož by to mohlo způsobit závažné zdravotní komplikace.

Příznaky možné infekce jsou popsány na straně 12.



Celkový zdravotní stav

Před léčbou je důležité, aby bylo Vaše dítě ve vhodném celkovém zdravotním stavu, jinak může být nutné léčbu odložit. To zahrnuje dostatečné zavodnění (příjem tekutin), dobrou výživu a nepřítomnost infekčního onemocnění. Pokud máte před léčbou jakékoli pochybnosti týkající se celkového zdravotního stavu Vašeho dítěte, neváhejte se obrátit na svého dětského nebo ošetřujícího lékaře.

2. Den léčby

Lékařský tým, který pečuje o Vaše dítě zajistí, že budete přesně vědět, co můžete v den léčby očekávat a jak se připravit.



Prednisolon

V den léčby dostane Vaše dítě druhou dávku kortikosteroidů (prednisolon nebo podobná látka) ke spolknutí. Dávkovací režim kortikosteroidů je důležitý pro zvládnutí možného zvýšení hladiny jaterních enzymů a bude pokračovat po určitou dobu po ukončení léčby. [Informace o dávkování kortikosteroidů před léčbou přípravkem Zolgensma jsou uvedeny na straně 15.](#) Aby bylo dodrženo správné dávkování kortikosteroidů, informujte o případném zvracení po podání kortikosteroidů ošetřujícího lékaře nebo zdravotní sestru.



Přípravek Zolgensma bude Vašemu dítěti podán POUZE jednou.



Infuze přípravku Zolgensma

Přípravek Zolgensma bude Vašemu dítěti podán jednou intravenózní infuzí (do žíly). To obnáší zavedení kanyly (tenké plastové trubičky) do jedné z žil Vašeho dítěte. Bude zavedena i záložní kanyla pro případ jakýchkoli problémů s hlavní kanylou. Infuze bude podávána ošetřujícím lékařem nebo zdravotní sestrou proškolenou v oblasti léčby SMA a bude trvat asi 60 minut.

Dávku přípravku Zolgensma, kterou Vaše dítě dostane, určí ošetřující lékař v závislosti na aktuální hmotnosti dítěte.

3. Po léčbě

O délce hospitalizace po léčbě přípravkem Zolgensma rozhodne Váš ošetřující dětský lékař. Pokud máte jakékoli dotazy, neváhejte se obrátit na lékařský tým, který pečuje o Vaše dítě.



Možné nežádoucí účinky

Podobně jako všechny léky, může mít i tento lék nežádoucí účinky, které se ale nemusí vyskytnout u každého.

Časté (může postihnout až 1 z 10 osob)

- Zvracení
- Horečka

**VYHLEDEJTE OKAMŽITOU LÉKAŘSKOU POMOC
POKUD SE U VAŠEHO DÍTĚTE PROJEVÍ JAKÝKOLIV
Z NÁSLEDUJÍCÍCH PŘÍZNAKŮ**



- **Modřiny** nebo **krvácení** trvající déle než obvykle, pokud bylo Vaše dítě zraněno – mohou být příznaky nízkého počtu krevních destiček (trombocytopenie).
- **Větší náchylnost k modřinám, epileptické záchvaty (křeče)** nebo **snížený výdej moči** – možné projevy nadměrného srážení krve v malých cévách (trombotická mikroangiopatie). Těmto příznakům je třeba věnovat mimořádně velkou pozornost, protože tato porucha může být život ohrožující, pokud není včas léčena.
- **Zvracení, žloutenka** (zežloutnutí kůže nebo očního bělma) nebo nadměrná únava a spavost – mohou být příznaky možných problémů s játry (včetně jaterního selhání).
- **Světle šedá nebo modrá barva rtů nebo kůže, potíže s dýcháním** (např. zrychlené nebo namáhavé dýchání), **otoky rukou a nohou nebo břicha** – mohou být příznaky možných problémů se srdcem.
- **Kašel, sípání, kýchání, rýma, bolest v krku**, nebo **horečka, zvracení nebo průjem** – možné příznaky infekce (např. nachlazení, chřipka nebo bronchiolitida).

3. Po léčbě (pokračování)



Kortikosteroidy

Užívání kortikoidů denně po dobu 2 měsíců po podání přípravku Zolgensma je nezbytné pro úspěšnou léčbu. Toto období může být prodlouženo, pokud hodnoty jaterních enzymů Vašeho dítěte neklesají dostatečně rychle, a to až do okamžiku, dokud neklesnou na přijatelnou úroveň. Dávka kortikosteroidů podávaná Vašemu dítěti bude během této doby pomalu snižována, dokud nebude možné léčbu úplně ukončit.

Lékařský tým, který pečuje o Vaše dítě, rozhodne a vysvětlí Vám, kdy a jak ukončí léčbu. Aby bylo dodrženo správné dávkování kortikosteroidů, informujte o případném zvracení po podání kortikosteroidů nebo o jiném vynechání dávky (**z jakéhokoli důvodu**) ošetřujícího lékaře nebo zdravotní sestru.

Máte-li jakékoli dotazy týkající se kortikosteroidů, obraťte se na lékaře, zdravotní sestru, lékárníka nebo jiného zdravotnického pracovníka.



Pravidelné následné kontroly

Po léčbě přípravkem Zolgensma bude Vaše dítě nadále pod pravidelným dohledem specializovaného zdravotnického týmu. Vaše dítě bude podle potřeby vyžadovat následné návštěvy, ať už se jedná o všeobecné kontroly, pokud se u Vašeho dítěte vyskytnou nežádoucí účinky, nebo pokud budete mít jakékoli obavy či dotazy.

Pro pacienty se SMA je nezbytná odpovídající standardní péče, včetně podpůrné péče, která jim bude poskytována. Je důležité probrat s lékařem Vašeho dítěte, jak bude zdravotnický tým nadále podporovat Vaše dítě.



Pravidelné krevní testy

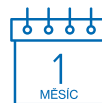
V týdnech následujících po léčbě bude Vaše dítě pravidelně absolvovat odběry krve na vyšetření

- Funkce jater – tyto testy se budou pravidelně provádět nejméně 3 měsíce po léčbě s cílem sledování možného zvýšení hladin jaterních enzymů.

Pokud se jaterní funkce Vašeho dítěte po léčbě přípravkem Zolgensma zhorší nebo se u něj objeví jakékoli příznaky onemocnění, bude neprodleně vyšetřeno a pečlivě sledováno lékařem.

- Počet krevních destiček a hladinu troponinu-I – test bude probíhat po určité době po léčbě s cílem sledovat změny v krevních destičkách a hladinách troponinu-I.

V závislosti na výsledcích těchto krevních testů a na dalších příznacích a symptomech může být nutné provést další vyšetření. Je důležité pečlivě dodržovat plán odběrů krve a neprodleně hlásit lékařskému týmu Vašeho dítěte všechny příznaky, které se u něj po léčbě projeví.



Hygiena v souvislosti s biologickým odpadem dítěte (např. použité pleny)

Část léčivé látky v přípravku Zolgensma se může po léčbě z těla Vašeho dítěte vylučovat tělními tekutinami. Vy a další lidé, kteří o dítě pečují, byste měli dodržovat správnou hygienu rukou, jak je uvedeno níže, po dobu **alespoň 1 měsíce** po infuzi.



Noste ochranné rukavice při přímém kontaktu s tělními tekutinami (močí), výkaly nebo jinými výměšky Vašeho dítěte.



Poté **si důkladně umyjte ruce** mýdlem pod teplou tekoucí vodou nebo dezinfekčním prostředkem na ruce na bázi alkoholu.



Pro likvidaci znečištěných plen a jiného odpadu **použijte dva plastové sáčky**. Jednorázové pleny mohou být i nadále likvidovány společně s domácím odpadem.

Máte-li jakékoli dotazy ohledně likvidace biologických odpadních látek dítěte, poraďte se s dětským lékařem nebo zdravotní sestrou.

3. Po léčbě (pokračování)

Podpůrná péče

Přesto, že přípravek Zolgensma dodává plně funkční kopii genu *SMN*, Vaše dítě má stále onemocnění SMA.

Mezi další podpůrné terapie používané k péči o pacienty s SMA patří:



Ortopedická péče



Fyzioterapie



Podpora výživy,
příjmu potravy a pití



Podpora dýchání,
například pomocí
spánkové masky



Prevence infekcí
dýchacích cest
(např. prevence chřipky
a zápalu plic očkováním)



Odstranění sekretů
z dýchacích cest

Tým lékařů s Vámi bude spolupracovat na zajištění potřeb podpůrné péče pro Vaše dítě.



Místní SMA asociace



Po celém světě existuje řada sdružení pacientů, která Vám a Vašemu dítěti s SMA mohou pomoci. Mohou Vám poskytnout informace o SMA, nejnovějším výzkumu a podpoře komunity. Obratě se na lékaře nebo zdravotnický tým svého dítěte, který Vám může poskytnout informace o skupinách, které jsou pro Vás bližší.

Česká republika – SMÁci

V České republice působí patientská organizace SMÁci, z. s., jejíž cílem je poskytovat pacientům s SMA a jejich rodinám informace a podporu potřebnou ke zlepšení kvality jejich života.

Sídlo: Nová 181, Zbuzany, 252 25

Web: www.smaci.cz

E-mail: info@smaci.cz

Kontakty na ošetřující tým Vašeho dítěte

Běžná slova, kterým je třeba porozumět

Adeno-asociovaný virus 9 (AAV9)

Adeno-asociovaný virus 9 (AAV9) je typ viru. AAV9 lze modifikovat tak, aby nezpůsobil onemocnění u lidí. V přípravku Zolgensma je modifikovaný AAV9 vektorem používaným k dodání plně funkční kopie genu *SMN*.

Protilátky

Protilátky produkuje imunitní systém těla, aby ho chránil před nemocemi. Každý typ protilátky je jedinečný a chrání tělo před specifickým typem onemocnění.

Atrofie

Atrofie znamená ubývání nebo zmenšování. Například sval, který ubývá, se nazývá atrofovaný sval.

Kortikosteroidy

Kortikosteroidy potlačují imunitní reakci. Při léčbě přípravkem Zolgensma se podávají, aby snížily nárůst hladin jaterních enzymů a tak se zabránilo poškození jater.

Deoxyribonukleová kyselina (DNA)

DNA nebo deoxyribonukleová kyselina je nositelem dědičné informace.

Krevní destičky

Typ krevních tělísek, které se nacházejí v krvi a jejichž prostřednictvím dochází ke srážení krve.

Gen

Geny jsou úseky DNA, podle kterého je buňka schopná vytvořit určitou bílkovinu. Geny jsou v buňkách ve dvou kopiích: jedna kopie genu je zděděná od matky a druhá od otce.

Genová terapie

Genová terapie je způsob léčby, nebo prevence progresu onemocnění pomocí genů. Existují různé typy genové terapie, které fungují různými způsoby. Mezi ně patří nahrazení chybějících nebo oprava genů, které nefungují správně a to přidáním nového genu, nebo zastavením genu, který produkuje příliš mnoho bílkovin, které se pak stanou pro tělo toxickými.

Genetické onemocnění

Zdravotní stav způsobený vadným nebo chybějícím genem, nebo geny. Genetická onemocnění se dědí. SMA je příkladem geneticky podmíněného onemocnění.

Intravenózní infúze

Infúze do žíly pomocí kanyly (plastová trubička), který se zavádí do žíly pomocí jehly.

Motorické neurony

Tyto speciální nervové buňky přenášejí signály z mozku do svalů a ovládají tak pohyb těla.

Proteiny

Proteiny jsou důležité molekuly zapojené do téměř všech tělesných funkcí. Proteiny pomáhají budovat tělesné buňky a zároveň pomáhají s jejich transportem, produkcí důležitých látek, opravou a přežitím.

Nežádoucí účinek

Nežádoucím účinkem je vedlejší, nezamýšlený a obvykle nepříznivý účinek léku.

Poznámky

[illegible]



Podrobné informace o tomto léčivém přípravku jsou k dispozici na webových stránkách Evropské agentury pro léčivé přípravky:

www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/zolgensma#product-information-section

Tato příručka informace byla vytvořena společností Novartis s.r.o. Poskytnuté informace slouží pouze pro vzdělávací účely a nemají nahradit diskusi s ošetřujícím lékařem nebo ošetřovatelským týmem. Informace se týkají spinální svalové atrofie a jsou zamýšleny jako obecný přehled.