

Informationsmaterial till vårdnadshavare om behandling med **ZOLGENSMA[®]▼**

Du har fått det här informationsmaterialet av barnets läkare eftersom ditt barn har ordinerats Zolgensma[®] (▼). Syftet med informationsmaterialet är att ge praktisk information som stöd för samtal med din läkare. Det ska läsas tillsammans med bipacksedeln som medföljer detta läkemedel.

Zolgensma är föremål för utökad övervakning för att snabbt kunna identifiera nya biverkningar. Om ditt barn får biverkningar, tala med barnets läkare, sjuksköterska eller vårdteam/annan sjukvårdspersonal. Detta gäller även eventuella biverkningar som inte nämns i denna handledning eller i bipacksedeln.

Om du har frågor om eller oro kring Zolgensma, tala med barnets läkare, sjuksköterska eller vårdteam/annan sjukvårdspersonal.

- Vad är SMA
- Vad är Zolgensma och hur fungerar det
- Viktig säkerhetsinformation och möjliga biverkningar
- Behandlingsförloppet

Om du har frågor om eller oro kring detta läkemedel eller barnets mående, tala med barnets läkare, sjuksköterska eller vårdteam/annan sjukvårdspersonal.

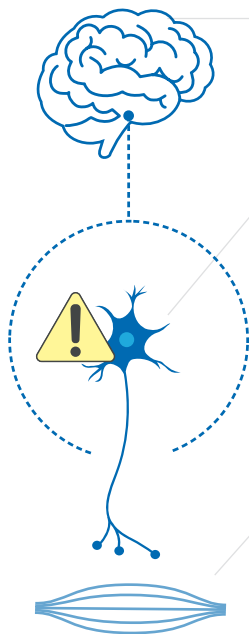
[illegible]

Innehåll

Om SMA	4
• Vad är SMA?	4
• Vilka är de olika typerna av SMA?	5
• Vad orsakar SMA?	6
• Hur får man SMA?	7
Vad är Zolgensma?	8
Läs mer om läkemedlet och hur det fungerar	
Förstå riskerna med Zolgensma	10
Viktig säkerhetsinformation och möjliga biverkningar	
Behandlingsförloppet	15
• Före behandlingen	16
• Behandlingsdagen	18
• Efter behandlingen	19
När man ska söka läkarvård	25
Praktiska kontakter	26
Lokala organisationer	27
Termer man bör känna till	28
Här hittar du förklaringar av de termer som används i informationsmaterialet	
Anteckningar	30

Vad är SMA?

Spinal muskelatrofi (SMA) är en sällsynt genetisk sjukdom som innebär att nerver bryts ned, vilket leder till att musklerna blir försvagade. Detta sker genom att speciella nervceller i kroppen som styr muskelrörelserna, så kallade motorneuron, försämras och slutar fungera.



Signaler kommer från hjärnan

Hos personer med SMA genereras fortfarande signaler för muskelrörelser.

Motorneuron slutar fungera

En felaktig gen gör dock att speciella nervceller, så kallade motorneuron, som överför signaler från ryggmärgen till musklerna slutar fungera. Detta innebär att signalerna för rörelse från hjärnan inte kan nå fram till muskeln.

Försvagade muskler

Om musklerna inte längre får signaler som säger åt dem att röra sig blir de allt svagare (atrofi).



Vid SMA är förmågan att tänka, lära sig eller skapa relationer oförändrad.

Vilka är symtomen på SMA?

SMA har en rad olika symtom som kan variera från person till person och i svårighetsgrad. SMA kan påverka dagliga aktiviteter som att andas, äta, sitta, krypa och gå. Ju tidigare symtom på SMA uppträder, desto allvarligare kommer sjukdomen sannolikt att vara.

Vilka är de olika typerna av SMA?

Vid diagnos kan personer med SMA klassificeras i olika typer baserat på ålder vid debut och maximal funktionsförmåga, eller "motorisk milstolpe". Motoriska milstolpar som är relevanta för att förstå vilken typ av SMA barn kan ha inkluderar deras förmåga att:



Lyfta huvudet



Hålla ett föremål i handen



Krypa



Sitta



Rulla runt



Stå och gå

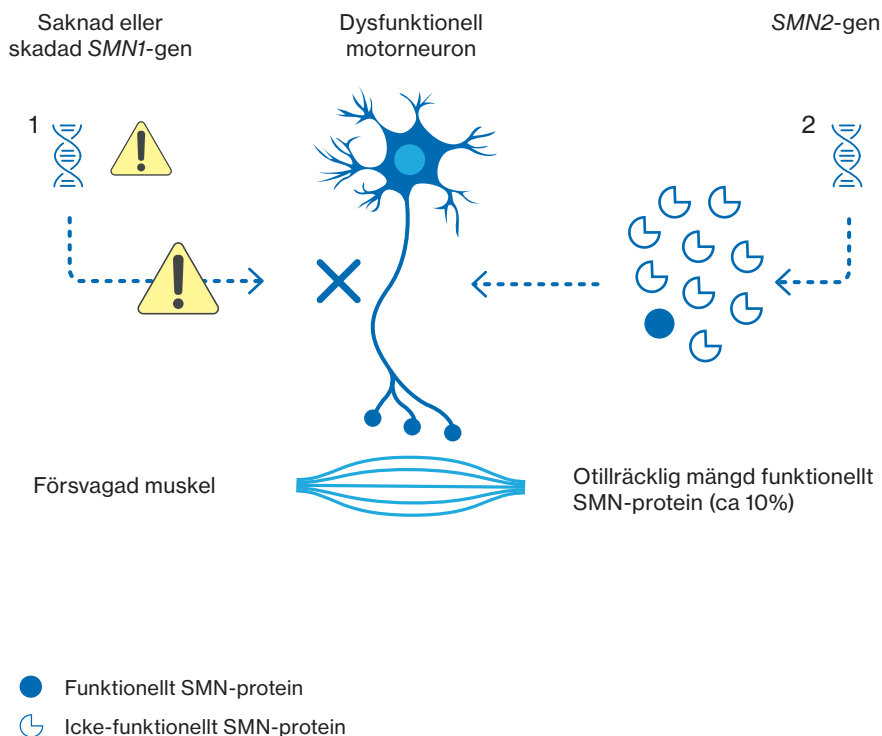
Ålder vid symtomdebut	Födelse	≤6 månader	6–18 månader	>18 månader	≥18 år
Funktionell förmåga	Foster kan vara påverkat innan födsel	Kan inte sitta utan stöd	Kan sitta och eventuellt stå, kan inte gå utan stöd	Gång utan stöd	Gång utan stöd fram till vuxen ålder
Klassificering	SMA Typ 0	SMA Typ 1	SMA Typ 2	SMA Typ 3	SMA Typ 4
Allvarlighetsgrad	Tidigare, allvarligare Senare, mindre allvarligt				

Utan intervention eller behandling har barn med svårare former av SMA en förkortad livslängd. Genom tidiga insatser från vården och behandling kan försämringen bromsas in, och barn kan ofta uppnå milstolpar som sällan förekommer om sjukdomen får ha sin gång.

Vad orsakar SMA?

Ett protein som kallas överlevnadsmotorneuron (SMN) är avgörande för att motorneuronerna ska kunna fungera som de ska. Utan SMN-protein slutar motorneuronerna i ryggmärgen att fungera och musklerna blir svagare. SMN-protein tillverkas i kroppen från *SMN*-genen.

Vid SMA är den huvudsakliga *SMN*-genen, *SMN1*, felaktig eller saknas. Det finns ytterligare en *SMN*-gen, *SMN2*, som fungerar mer som en "reservgen" och bara producerar små mängder SMN-protein. Vid SMA produceras inte tillräckligt med SMN-protein och de motorneuronerna slutar fungera, vilket leder till att musklerna blir svagare.



Hur får man SMA?

SMA ärvs vanligen, men ibland orsakas den av ett slumpmässigt fel i *SMN1*-genen.

Barn ärver två kopior av *SMN1*-genen, en kopia från vardera föräldern. Hälften av ett barns genetiska information kommer från mamman och hälften från pappan. Personer med en frisk och en felaktig *SMN1*-gen kallas bärare, och de visar normalt inga tecken på SMA. Om båda föräldrarna är bärare är det 25 % risk att barnet ärver och utvecklar SMA.



Ungefär **1 av 50** personer är bärare av SMA



SMA drabbar ungefär **1 av 10 000 - 12 000** levande nyfödda och kan drabba alla, oavsett härkomst och kön



Bärare

Har en defekt och en frisk kopia av *SMN1*-genen



Bärare

Har en defekt och en frisk kopia av *SMN1*-genen



Frisk

Barnet har ärvt en frisk kopia av *SMN1*-genen från båda föräldrarna och är därför opåverkad



Bärare

Barnet har ärvt en frisk kopia och en defekt kopia av *SMN1*-genen och blir en bärare av SMA



Bärare



Drabbad av SMA

Barnet har ärvt en defekt kopia av *SMN1*-genen från båda föräldrarna och utvecklar därför SMA

Vad är Zolgensma?

Zolgensma är en behandling för spädbarn och små barn med SMA. Det är en typ av behandling som kallas "genterapi".

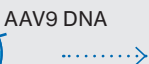
Zolgensma består av ett modifierat virus, AAV9, som innehåller en fullt fungerande kopia av *SMN*-genen (den gen som är felaktig vid SMA). AAV9-viruset i Zolgensma används för att föra in ersättningsgenen i kroppen och i de celler där den behövs.

1

I läkemedlet placeras *SMN*-genen i ett modifierat virus (AAV9) som inte orsakar sjukdom hos människa.



AAV9



AAV9 med DNA borttaget



Zolgensma

2

Läkemedlet ges intravenöst (i en ven) till ditt barn



Zolgensma



3

Det modifierade viruset i läkemedlet färdas genom kroppen och levererar *SMN*-genen till cellerna där den behövs.



Zolgensma



Ditt barns celler

4

Genom att tillhandahålla en fullt fungerande kopia av *SMN*-genen, hjälper läkemedlet kroppen att producera tillräckligt med *SMN*-protein.



SMN protein

Zolgensma vid SMA i framskridet stadium

Zolgensma kan rädda ännu levande motoriska nervceller som fortfarande har tillväxtförmåga, men däremot kan inte redan döda motoriska nervceller räddas. Barn med mindre allvarliga symtom på SMA kan ha tillräckligt med levande motoriska nervceller för att ha nytta av behandling. Zolgensma kanske inte fungerar lika bra för barn med svåra symtom.

Förstå riskerna med Zolgensma

Liksom alla läkemedel kan detta läkemedel orsaka biverkningar, men alla som har fått läkemedlet behöver inte få dem.

OM DITT BARN UPPLEVER NÅGRA BIVERKNINGAR, KONTAKTA OMEDELBART BARNETS LÄKARE, SJUKSKÖTERSKA ELLER VÅRDTEAM/ANNAN SJUKVÅRDSPERSONAL.



Viktig säkerhetsinformation och när man ska söka läkarvård



Leverproblem

Om ditt barn har eller har haft någon form av leverproblem ska du informera barnets vårdteam om detta innan barnet får denna medicin. I vissa fall kan Zolgensma ge upphov till ett immunsvär som kan leda till en ökning av enzymer (proteiner i kroppen) som produceras av levern eller att levern skadas.

Skada på levern kan leda till allvarlig utgång, inklusive leversvikt och död. Tecken du behöver vara uppmärksam på när ditt barn har fått detta läkemedel är bland annat kräkning, gulsot (när hud eller ögonvitor gulnar) eller minskad vakenhet. Tala omedelbart om för ditt barns läkare om du märker att ditt barn utvecklar några symtom som tyder på skada på levern.



Onormal blodkoagulering

Zolgensma kan öka risken för onormal koagulering av blodet i små blodkärl (trombotisk mikroangiopati), oftast inom de 2 första veckorna av behandlingen med Zolgensma. Dessa blodproppar kan påverka barnets njurar. Informera omedelbart läkaren om du uppmärksammar tecken och symtom som exempelvis att barnet lätt får blåmärken, får kramper (anfall) eller kissar mindre.

Du ska vara mycket uppmärksam på dessa tecken och symtom, eftersom onormal blodkoagulering (trombotisk mikroangiopati) är allvarligt och kan vara livshotande utan behandling.



Lågt trombocyttal

Zolgensma kan minska antalet blodplättar (trombocytopeni), oftast inom de 3 första veckorna av behandlingen med Zolgensma. Tecken på minskat antal blodplättar som du bör vara uppmärksam på hos ditt barn som fått läkemedlet är bland annat onormal förekomst av blåmärken eller blödningar.

Tala om för ditt barns läkare om du märker att det tar längre tid än vanligt för blåmärken eller blödning att gå över när ditt barn har fått en skada.



Förhöjt Troponin-I

Zolgensma kan leda till förhöjda nivåer av ett hjärtprotein som kallas troponin-I och som kan tyda på skada på hjärtat. Du måste vara uppmärksam på tecken på hjärtproblem efter att barnet har fått läkemedlet, t.ex. blekgrå eller blå hy, andningssvårigheter (t.ex. snabb andning, andfåddhet), svullnad i armar och ben eller mage.

Innan behandling med Zolgensma påbörjas tas blodprover på ditt barn för att kontrollera leverfunktion, njurfunktion, antal blodkroppar (inklusive röda blodkroppar och blodplättar) och troponin-I-nivå.

Under minst 3 månader efter behandlingen tas regelbundna blodprover på barnet för kontroll av leverfunktionen och övervakning av förändringar i trombocyt- och troponin-I-nivåerna. Beroende på värdena och andra tecken och symtom kan ytterligare bedömning behövas. Barnets läkare avgör hur länge testningen ska pågå.



Mer information finns i bipacksedeln som medföljer ditt barns läkemedel. Du kan alltid tala med barnets vårdteam om du har frågor.

Förstå riskerna med Zolgensma (forts.)

Zolgensma kan som alla andra läkemedel orsaka biverkningar, men alla som behandlas med läkemedlet behöver inte få biverkningar.

OM DITT BARN UPPLEVER NÅGRA BIVERKNINGAR, KONTAKTA OMEDELBART BARNETS LÄKARE, SJKSKÖTERSKA ELLER VÅRDTEAM/ANNAN SJKVÅRDSPERSONAL.



Allergier

Barnet får inte ges Zolgensma vid allergi mot något av innehållsämnen (ingredienserna anges i avsnitt 6 i bipacksedeln som medföljer läkemedlet).



Kortikosteroider

Ditt barn kommer också att få kortikosteroider (prednisolon eller motsvarande) under en tid före och efter behandling med Zolgensma. Hur länge ditt barn kommer att få kortikosteroider efter behandlingen med Zolgensma varierar beroende på leverenzymvärden och andra tecken och symtom och bestäms av barnets läkare. Behandlingen med kortikosteroider kommer att pågå i minst 2 månader.

En eventuell förhöjning av leverenzymmer som kan uppstå hos ditt barn på grund av immunsvaret på läkemedlet kan hanteras genom behandling med kortikosteroider. Kortikosteroiddosen beräknas av läkaren baserat på barnets vikt.

Under behandlingen med kortikosteroider kan ditt barn få nya infektioner eller ovanliga barnsjukdomar som kan kräva att andra läkemedel används. Före behandling med andra läkemedel, eller om du har frågor om kortikosteroider, är det viktigt att du talar med barnets läkare, sjuksköterska eller vårdteam/annan sjukvårdspersonal.



Andra läkemedel och Zolgensma

Zolgensma ges endast en gång till ditt barn. Tala om för läkaren eller sjuksköterskan om barnet får, nyligen har fått eller kan tänkas få andra läkemedel.



Infektion

Ditt barns immunsystem kan vara försvagat på grund av kortikosteroider, vilket betyder att infektioner som är relativt lindriga för friska personer kan ge svår sjukdom hos barnet. Om ditt barn får en infektion (t.ex. förkylning, influensa eller bronkiolit) **före** eller **efter** behandling med Zolgensma kan detta eventuellt leda till andra allvarigare komplikationer som kan kräva akut läkarvård.

Tala omedelbart om för barnets läkare om ditt barn visar tecken och symtom som tyder på en infektion **före** eller **efter** behandling med Zolgensma, bland annat:

- Hosta
- Nysningar
- Halsont
- Väsande andning
- Rinnande näsa
- Feber

Det är viktigt att förebygga infektioner före och efter behandling med Zolgensma genom att undvika situationer som kan öka risken för att barnet får infektioner. Du och andra personer som kommer i nära kontakt med barnet kan bidra till att förhindra infektion genom att tillämpa god handhygien, hosta/nysa i armvecket och begränsa kontakt med andra personer som kan sprida smitta.

Förstå riskerna med Zolgensma (forts.)

SAMMANFATTNINGSVIS - UPPSÖK GENAST LÄKARE OM DITT BARN UPPVISAR NÅGOT AV FÖLJANDE TECKEN ELLER SYMTOM:



- **Blåmärken** eller **blödningar** som pågår längre än vanligt om barnet har gjort illa sig - detta kan vara tecken på ett minskat antal blodplättar (trombocytopeni)
- **Lätt att få blåmärken, får kramper** (anfall) eller **kissar mindre** - detta kan vara tecken på onormal koagulering av blodet i små blodkärl (trombotisk mikroangiopati). Var mycket uppmärksam på dessa tecken och symtom, eftersom onormal blodkoagulering är allvarligt och kan vara livshotande utan behandling
- **Kräkning, gulsot** (när hud eller ögonvitor gulnar) eller **minskad vakenhet** - detta kan vara tecken på leverproblem (inklusive leversvikt)
- **Blekgrå eller blå hy, andningssvårigheter** (t.ex. snabb andning, andfåddhet), **svullnad i armar och ben eller i magen** - dessa kan vara tecken på eventuella problem med hjärtat
- **Hosta, väsande andning, nysningar, rinnande näsa, halsont eller feber** - detta kan vara tecken på infektion (t.ex. förkylning, influensa eller bronkiolit)

Behandlingsförloppet

Viktig information



1. Före behandlingen

Som en del av utredningen för att avgöra om Zolgensma är lämpligt för ditt barn kommer läkaren att utföra antikroppstestning före insättning av behandlingen



AAV9-antikroppstest

Kroppens immunsystem producerar antikroppar som bidrar till att skydda mot sjukdomar. Förekomsten av vissa antikroppar, närmare bestämt AAV9-antikroppar, kan leda till att ditt barn utvecklar ett immunsvär mot Zolgensma. Som en del av utredningen för att avgöra om läkemedlet är lämpligt för ditt barn kommer läkaren att utföra antikroppstestning före insättning av behandlingen.

Ditt barn kan ha förhöjda nivåer av AAV9-antikroppar. Om barnet är nyfött kan det vara antikroppar som har överförts från mamma till barn under graviditeten, och dessa förhöjda värden sjunker ofta successivt efter födseln. Om det första testet visar att ditt barn har förhöjda nivåer av AAV9-antikroppar kan en förnyad testning utföras efter en tid. Om du har några frågor, vänd dig till barnets läkare.



Blodprover

Före behandlingsstart tas blodprover för att kontrollera och fastställa ursprungsvärden för:

- Leverfunktion
- Njurfunktion
- Antalet blodceller (inklusive röda blodkroppar och blodplättar)
- Troponin-I-nivå

Resultaten hjälper läkaren att bedöma barnets värden efter behandling med Zolgensma.



Kortikosteroider

24 timmar före behandlingen med Zolgensma får ditt barn kortikosteroider (prednisolon eller motsvarande) för att hantera en eventuell förhöjning av leverenzymen.

Kortikosteroiddosen beräknas av läkaren baserat på barnets vikt. Informera barnets läkare, sjuksköterska eller vårdteam/annan sjukvårdspersonal om ditt barn skulle kräkas före behandlingen med Zolgensma. Detta för att säkerställa att rätt kortikosteroiddos har kunnat tas upp av kroppen.



Infektion

Det är viktigt att du omedelbart informerar barnets läkare, sjuksköterska eller vårdteam/annan sjukvårdspersonal om barnet uppvisar symtom som tyder på infektion **före** eller **efter** Zolgensma. Om ditt barn utvecklar något tecken eller symtom som tyder på infektion före behandling med Zolgensma kan infusionen behöva skjutas upp tills infektionen har läkt ut. Om ditt barn utvecklar symtom efter behandling med Zolgensma kan det leda till medicinska komplikationer som kan kräva akut läkarvård.

[Du kan läsa om tecken på en eventuell infektion på sidan 13.](#)



Allmän hälsa

Innan ditt barn behandlas med Zolgensma är det viktigt att barnets allmänna hälsa är god. I annat fall kan behandlingen behöva skjutas upp. Det betyder att barnets vätske- och näringsstatus ska vara god och att barnet inte ska ha några aktiva infektioner. Om du tror att det finns skäl till oro över barnets allmänna hälsa före behandlingen med Zolgensma, tala med barnets läkare, sjuksköterska eller vårdteam/annan sjukvårdspersonal.

2. Behandlingsdagen

Barnets vårdteam ser till att ni vet precis vad ni kan förvänta er på behandlingsdagen och hur ni förbereder er



Prednisolon

Ditt barn ska ha fått sin första dos kortikosteroider (prednisolon eller motsvarande) 24 timmar före behandling med Zolgensma. [Information om kortikosteroiddosering före behandling med Zolgensma finns på sidan 17.](#)

På behandlingsdagen får ditt barn sin andra kortikosteroiddos (prednisolon eller motsvarande) enligt ordination. Kortikosteroidmedicineringen är viktig för att hantera eventuella leverenzymökningar och kommer att fortsätta under en period efter behandlingen. [Se sidan 21 för information om kortikosteroiddosering efter behandling med Zolgensma.](#)

Informera barnets läkare, sjuksköterska eller vårdteam/annan sjukvårdspersonal om ditt barn skulle kräkas efter att ha fått sin andra kortikosteroiddos. Detta för att säkerställa att rätt kortikosteroiddos har kunnat tas upp av kroppen.



Zolgensma ges endast EN GÅNG till ditt barn



Behandlingen

Zolgensma ges till ditt barn som en intravenös engångsinfusion. Det innebär att en nål används för att föra in en kateter (plastslang) i en av barnets vener. En extra kateter förs in så att den finns till hands om den första blir blockerad. Infusionen utförs av en läkare eller sjuksköterska som är utbildad i behandling av SMA. Infusionen tar ungefär 60 minuter.

Läkemedelsdosen beräknas av läkaren baserat på barnets vikt.

3. Efter behandlingen

Läkaren avgör hur länge barnet behöver stanna kvar på sjukhuset efter behandlingen. Du kan alltid tala med barnets vårdteam om du har frågor.



Eventuella biverkningar

Liksom alla läkemedel kan detta läkemedel orsaka biverkningar, men alla som har fått läkemedlet behöver inte få dem.

KONTAKTA GENAST VÅRDEN OM DITT BARN UPPVISAR NÅGOT AV FÖLJANDE:



- **Blåmärken** eller **blödningar** som pågår längre än vanligt om barnet har gjort illa sig - detta kan vara tecken på ett minskat antal blodplättar (trombocytopeni)
- **Lätt att få blåmärken, får kramper** (anfall) eller **kissar mindre** - detta kan vara tecken på onormal koagulering av blodet i små blodkärl (trombotisk mikroangiopati). Var mycket uppmärksam på dessa tecken och symtom, eftersom onormal blodkoagulering är allvarligt och kan vara livshotande utan behandling
- **Kräkning, gulsot** (när hud eller ögonvitor gulnar) eller **minskad vakenhet** - detta kan vara tecken på leverproblem (inklusive leversvikt)
- **Blekgrå eller blå hy, andningssvårigheter** (t.ex. snabb andning, andfåddhet), **svullnad i armar och ben eller i magen** - dessa kan vara tecken på eventuella problem med hjärtat
- **Hosta, väsande andning, nysningar, rinnande näsa, halsont** eller **feber** - detta kan vara tecken på infektion (t.ex. förkylning, influensa eller bronkiolit)

3. Efter behandlingen (forts.)

Kontakta barnets vårdteam snarast om ditt barn utvecklar några andra biverkningar. Dessa kan vara:

Mycket vanliga (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare)

- Förhöjda leverenzymmer som observeras genom blodprover

Vanliga (kan förekomma hos upp till 1 av 10 användare)

- Kräkningar
- Feber

Rapportering av biverkningar:

Om ditt barn får biverkningar, eller om du är orolig över att något är fel, tala omedelbart med barnets läkare, sjuksköterska eller vårdteam/annan vårdpersonal.

Detta gäller även eventuella biverkningar oavsett om de nämns i detta informationsmaterial eller i bipacksedeln.

Du kan också rapportera biverkningar direkt till Läkemedelsverket:

Läkemedelsverket
Box 26
751 03 Uppsala

Webbplats: www.lakemedelsverket.se

Genom att rapportera biverkningar kan du bidra till att öka informationen om läkemedels säkerhet.



Kortikosteroider efter Zolgensma

Efter behandlingen med Zolgensma kommer ditt barn att behandlas med kortikosteroider varje dag i ungefär 2 månader. Denna period kan förlängas om ditt barns leverenzymvärden inte sjunker tillräckligt snabbt fram till dess att de når en godtagbar nivå. Den mängd kortikosteroider som barnet får kommer att reduceras långsamt under denna tid fram till den tidpunkt behandlingen kan avbrytas helt.

Det är barnets vårdteam som avgör när och hur behandlingen ska avbrytas. De förklarar också för dig hur de resonerar om detta. Informera barnets läkare, sjuksköterska eller vårdteam/annan sjukvårdspersonal om ditt barn skulle kräkas eller om en eller flera doser har missats (**oavsett skäl**) efter behandlingen. Detta för att säkerställa att rätt kortikosteroiddos har kunnat tas upp av kroppen. [Sluta inte med kortikosteroidbehandlingen innan du har talat med ditt barns läkare, sjuksköterska eller vårdteam/annan sjukvårdspersonal.](#)

Om du har frågor om kortikosteroider, tala med barnets läkare, sjuksköterska eller vårdteam/annan sjukvårdspersonal.



3. Efter behandlingen (forts.)



Regelbundna uppföljningar

Efter Zolgensmabehandlingen kommer ditt barn att fortsätta stå under regelbunden uppsikt av ett särskilt vårdteam. Ditt barn kommer att få göra uppföljningsbesök vid behov, oavsett om det gäller allmänna kontroller, beror på att ditt barn upplever biverkningar eller om du har frågor eller oroar dig över något.

Lämplig standardvård för patienter med SMA, inklusive understödjande vård, är nödvändig och kommer att ges. Det är viktigt att du talar med barnets läkare om hur vårdteamet kommer att fortsätta ge ditt barn stöd.



Regelbundna blodprover

Efter behandling med Zolgensma tas regelbundna blodprover för kontroll av:

- Leverfunktion - dessa tester kommer att göras i minst 3 månader efter behandlingen för att kontrollera leverenzymökningar. Om ditt barns leverfunktion försämras efter behandlingen med Zolgensma, eller om barnet visar tecken på sjukdom, görs en bedömning snabbt och barnets läkare håller barnet under noggrann uppsikt
- Blodplättsräkning (trombocytantal) och troponin-I - denna testning utförs under en tid efter behandlingen för att övervaka förändringar i trombocyt- och troponin-I-nivåer

Beroende på resultaten av dessa blodprover och andra tecken och symtom kan ytterligare provtagning behövas. Det är viktigt att följa schemat för blodprovstagning noga och att omedelbart rapportera alla tecken och symtom som barnet kan utveckla efter behandlingen till barnets vårdteam.



Hantering av kroppens avfallsprodukter

En del av den aktiva substansen i Zolgensma följer med till kroppens avfallsprodukter efter behandlingen. Du och andra som vårdar barnet bör vara noga med handhygienen och följa anvisningarna nedan i **minst 1 månad** efter behandlingen.



Använd skyddshandskar vid all direktkontakt med barnets kroppsvätskor (urin) eller avfallsprodukter (avföring).



Tvätta händerna noga med tvål efteråt under rinnande varmvatten. Använd annars alkoholbaserad handdesinfektion.



Använd dubbla plastpåsar för blöjor och annat avfall. Engångsblöjor som lagts i dubbla plastpåsar kan kastas i hushållssoporna.

Om du har frågor om hur du ska hantera barnets kroppsliga avfallsprodukter kan du vända dig till barnets läkare, sjuksköterska eller vårdteam/ annan sjukvårdspersonal.

3. Efter behandlingen (forts.)

Understödjande vård

Zolgensma tillhandahåller visserligen en fullt fungerande kopia av SMN-genen, men ditt barn har fortfarande SMA.

Ytterligare understödjande behandlingar som används för att vårda personer med SMA är:



Ortopediska
behandlingar



Sjukgymnastik



Hjälp med näringstillförsel
samt att äta och dricka



Andningsstöd, t.ex.
med en sömnmask



Förebyggande av
luftvägsinfektioner (t.ex.
genom vaccination
mot influensa och
lunginflammation)



Avlägsna sekret
från luftvägarna

**Barnets vårdteam samarbetar med dig för
att se till att ditt barn får den understödjande
vård som behövs.**



När man ska söka läkarvård

Kontakta genast vården i följande situationer:



I vissa fall kan Zolgensma påverka leverns funktion vilket kan leda till leverskada. Tecken du behöver vara uppmärksam på när ditt barn har fått detta läkemedel är bland annat **kräkning, gulsot** (när hud eller ögonvitor gulnar) eller **minskad vakenhet**.

Läkemedlet kan minska antalet blodplättar (trombocytopeni). Tala med läkaren om du lägger märke till **onormala blåmärken** eller **blödningar** som pågår längre än vanligt om barnet har gjort sig illa.

Det finns en ökad risk för onormal koagulering av blodet i små blodkärl (trombotisk mikroangiopati). Informera omedelbart läkaren om du uppmärksammar tecken och symtom som exempelvis att barnet **lätt får blåmärken, får krampor** (anfall) eller **kissar mindre**.

Läkemedlet kan medföra förhöjda nivåer av ett hjärtprotein som kallas troponin-I och som kan tyda på skada på hjärtat. Kontakta omedelbart läkaren om du uppmärksammar tecken och symtom som exempelvis **blekgrå eller blå hy, andningssvårigheter** (t.ex. snabb andning, andfåddhet), **svullnad i armar och ben eller i magen**.

Berätta för läkaren om barnet **kräks före eller efter behandlingen**. Detta för att säkerställa att rätt kortikosteroiddos (prednisolon eller motsvarande) har kunnat tas upp av kroppen.

Berätta omedelbart för läkaren om ditt barn visar tecken och symtom som tyder på infektion (t.ex. förkylning, influensa eller bronkiolit) **före eller efter** behandlingen eftersom detta eventuellt kan leda till andra allvarigare komplikationer som kan kräva akut läkarvård. Tecken att vara uppmärksam på är **hosta, väsande andning, nysningar, rinnande näsa, halsont** eller **feber**.

Praktiska kontakter

Ditt barn kommer att fortsätta följas upp av ett team med vårdpersonal efter infusionen med Zolgensma. Ifall du skulle bli orolig över något och vilja tala med ditt barns läkare eller vårdteamet kan du använda formuläret nedan för att skriva ned deras kontaktuppgifter .

Namn:
Funktion:
Kontaktnummer:
Kontaktmejl:

Namn:
Funktion:
Kontaktnummer:
Kontaktmejl:

Namn:
Funktion:
Kontaktnummer:
Kontaktmejl:

Namn:
Funktion:
Kontaktnummer:
Kontaktmejl:

Namn:
Funktion:
Kontaktnummer:
Kontaktmejl:

Namn:
Funktion:
Kontaktnummer:
Kontaktmejl:

Lokala organisationer



Det finns många patientorganisationer runt om i världen som kan ge dig och ditt barn med SMA stöd. De kan ge information om SMA, den senaste forskningen och lokala stödorganisationer. Tala med ditt barns läkare eller vårdteam: de kan berätta om lokala grupper.

Termer man bör känna till

Adenoassocierat virus 9 (AAV9)

Adenoassocierat virus 9 (AAV9) är en typ av virus. AAV9 kan modifieras så att det inte orsakar sjukdom hos människor. I Zolgensma används modifierat AAV9 som vektor för att leverera den fullt fungerande kopian av SMN-genen.

Antikroppar

Kroppens immunsystem producerar antikroppar som bidrar till att skydda mot sjukdomar. Varje typ av antikropp är unik och försvarar kroppen mot en viss typ av sjukdom.

Atrofi

Atrofi innebär att förtvina eller krympa. En förtvinande muskel kallas till exempel en atrofierad muskel.

Biverkning

En biverkning är en sekundär och oftast oönskad effekt av ett läkemedel.

Blodplättar

En typ av cell som finns i blodet, som är viktig för att blodet ska koagulera.

Deoxiribonukleinsyra (DNA)

Deoxiribonukleinsyra - DNA - är arvsmassan hos människor och i stort sett alla andra organismer. Nästan varenda cell i en människas kropp innehåller samma DNA.

Gener

Gener är uppsättningar med instruktioner som kan berätta för kroppen hur den ska tillverka proteiner. Gener är alltid ordnade i par, och den ena kopian får vi från mamma och den andra från pappa.

Genetisk sjukdom

Ett medicinskt tillstånd som orsakas av att en eller flera gener saknas eller är skadade. Genetiska sjukdomar ärftliga. SMA är ett exempel på en genetisk sjukdom.

Genterapi

Genterapi är ett sätt att behandla en sjukdom eller förhindra sjukdomsförloppet med hjälp av gener. Det finns olika typer av genterapi som fungerar på olika sätt. Det kan handla om att ersätta eller reparera gener som saknas eller är skadade, att tillföra en ny gen som kan få ett annat läkemedel att fungera bättre eller stoppa instruktionerna från en gen som producerar för mycket av ett protein som sedan skadar kroppen.

Hjärnstam

Hjärnstammen är den del av hjärnan som hanterar några av kroppens viktigaste funktioner, bland annat andning och sömn. Hjärnstammen är förbindelsen mellan ryggmärgen och övriga hjärnan.

Intravenös infusion

En infusion innebär att med hjälp av en nål föra in en kateter (plastslang) i en ven.

Kortikosteroider

Kortikosteroider är en typ av läkemedel som hämmar immunförsvaret för att försöka hantera eventuella ökningar av leverenzymen efter behandling med Zolgensma.

Motorneuron

Dessa speciella nerver transporterar signaler från hjärnan till musklerna för kontroll av rörelserna.

Det finns två typer av motoriska nervceller - de övre motoriska nervcellerna som skickar signaler från hjärnan till hjärnstammen och ryggmärgen och de nedre motoriska nervcellerna som skickar signaler från de övre motoriska nervcellerna till musklerna.

Prednisolon

Prednisolon är en kortikosteroid, en typ av läkemedel som bidrar till att hantera eventuella ökningar av leverenzymen efter behandling med Zolgensma.

Proteiner

Proteiner är viktiga molekyler som ingår i nästan varenda en av kroppens funktioner. Proteiner bidrar till att bygga upp kroppens celler och hjälper dem att transportera och producera viktiga ämnen, men proteinerna hjälper också till att reparera cellerna och se till att de överlever.

Spinal muskelatrofi (SMA)

Spinal muskelatrofi (SMA) är en sällsynt sjukdom som gör att musklerna successivt försvagas eftersom motoriska nervcellerna, speciella nervceller i kroppen som kontrollerar muskelrörelser, slutar att fungera. Motoriska nervcellerna försämras och slutar till sist att fungera eftersom de inte har tillräckligt med SMN-protein.

SMN1-genen

SMN1-genen är den primära SMN-gen som producerar det SMN-protein som motoriska nervcellerna behöver för att kunna fungera som de ska. Båda kopiorna av denna gen är skadade eller saknas hos personer med SMA. Detta innebär att kroppens celler inte kan producera tillräckligt med SMN-protein.

SMN2-genen

SMN2-genen fungerar som en "reserv" för produktionen av SMN-protein. SMN2 producerar endast små mängder funktionellt SMN-protein.

Överlevnadsmotorneuronprotein (SMN-protein)

SMN-protein är nödvändigt för att motoriska nervcellerna ska fungera och överleva. Om det inte finns tillräckligt med SMN-protein försämras motoriska nervcellerna och slutar fungera. Det är kroppens SMN-gen som producerar SMN-proteinet.

Anteckningar

Ytterligare information om detta läkemedel finns på Europeiska läkemedelsmyndighetens webbplats:
https://www.ema.europa.eu/sv/documents/product-information/zolgensma-epar-product-information_sv.pdf

Denna broschyr har tagits fram av Novartis Europharm Limited. Informationen är endast avsedd att användas i utbildningssyfte och är inte avsedd att ersätta samtal med läkare eller vårdteam. Informationen gäller spinal muskelatrofi och är avsedd att ge en allmän översikt.

© 2024 Novartis Europharm Limited. All rights reserved.

Novartis Sverige AB
Box 1218, 164 28 Kista
Tel. 08-732 32 00
www.novartis.se

