

▼ Dette legemidlet er underlagt særlig overvåking for å oppdage ny sikkerhetsinformasjon så raskt som mulig. Du kan bidra ved å melde enhver mistenkt bivirkning, se [www.dmp.no/pasientmelding](http://www.dmp.no/pasientmelding)

# En veiledning for omsorgspersoner om behandling med ▼ ZOLGENSMA®

Legen til barnet ditt har gitt deg denne veiledningen fordi barnet ditt har fått forskrevet Zolgensma®.

Denne veiledningen har som mål å gi praktisk informasjon og utfylle samtaler med legen. Den bør leses sammen med pakningsvedlegget du mottar sammen med legemidlet. Siste oppdaterte pakningsvedlegg kan også finnes på [www.felleskatalogen.no](http://www.felleskatalogen.no).

Zolgensma er underlagt særlig overvåking for å oppdage nye bivirkninger så raskt som mulig. Hvis barnet opplever bivirkninger, må du snakke med barnets lege, sykepleier, farmasøyt eller annet helsepersonell.

Dette gjelder også for mulige bivirkninger som ikke er nevnt i denne veiledningen eller i pakningsvedlegget.

**Hvis du har spørsmål eller bekymringer om Zolgensma, kan du snakke med barnets lege, sykepleier, farmasøyt eller annet helsepersonell.**



# Hva finner du i denne veiledningen?

<b>Om SMA</b>	4
• Hva er SMA?	4
• Hva er de forskjellige typene SMA?	5
• Hva skyldes SMA?	6
• Hvordan får du SMA?	7
<b>Om Zolgensma</b>	8
• Hva er Zolgensma?	8
• Zolgensma ved fremskreden SMA	8
<b>Informasjon om risikoene ved bruk av Zolgensma</b>	10
Viktig sikkerhetsinformasjon og mulige bivirkninger av Zolgensma	
<b>Behandling med Zolgensma</b>	15
• Før behandling	16
• På behandlingsdagen	18
• Etter behandling	19
<b>Når bør man søke legehjelp</b>	25
<b>Legens kontaktinformasjon</b>	26
<b>Lokale pasientforeninger</b>	27
<b>Vanlige ord du bør kjenne til</b>	28
Finn nyttige definisjoner for begreper som brukes i denne veiledningen	
<b>Notater</b>	30

## Hva er SMA?

**Spinal muskeltrofi (SMA)** er en sjelden genetisk sykdom der nerver går tapt, noe som fører til at musklene blir svake. Dette skjer fordi spesielle nerveceller i kroppen som kontrollerer muskelbevegelser, kalt motornevroner, svekkes og slutter å fungere.



### Signaler kommer fra hjernen

Hos personer med SMA genereres signaler for muskelbevegelser fortsatt i hjernen.

### Motornevroner slutter å fungere

Et defekt gen fører imidlertid til at spesielle nerveceller, kalt motornevroner, som overfører signaler fra ryggmargen til musklene, slutter å fungere. Dette betyr at hjernens signaler om bevegelse ikke når frem til musklene.

### Svekkede muskler

Hvis musklene ikke lenger mottar signaler som ber dem om å bevege seg, blir de stadig svakere (atrofierer).



I SMA forblir evnen til å tenke, lære og bygge relasjoner uendret.

## Hva er symptomene på SMA?

SMA har en rekke symptomer som kan variere fra person til person og i alvorlighetsgrad. SMA kan påvirke daglige aktiviteter som å puste, spise, sitte, krype og gå. De tidligere symptomene på SMA til stede, jo mer alvorlig sykdommen er sannsynlig å være.

## Hva er de forskjellige typene SMA?

Ved diagnosetidspunktet kan personer med SMA klassifiseres i ulike typer basert på alder når symptomene oppstår og maksimal funksjonsevne, eller "motoriske milepæler". Motoriske milepæler som er relevante for å forstå hvilken type SMA barn kan ha, omfatter evnen til å:



Løfte hodet



Gripe noe med hånden



Krabbe



Sitte



Rulle rundt



Stå og gå

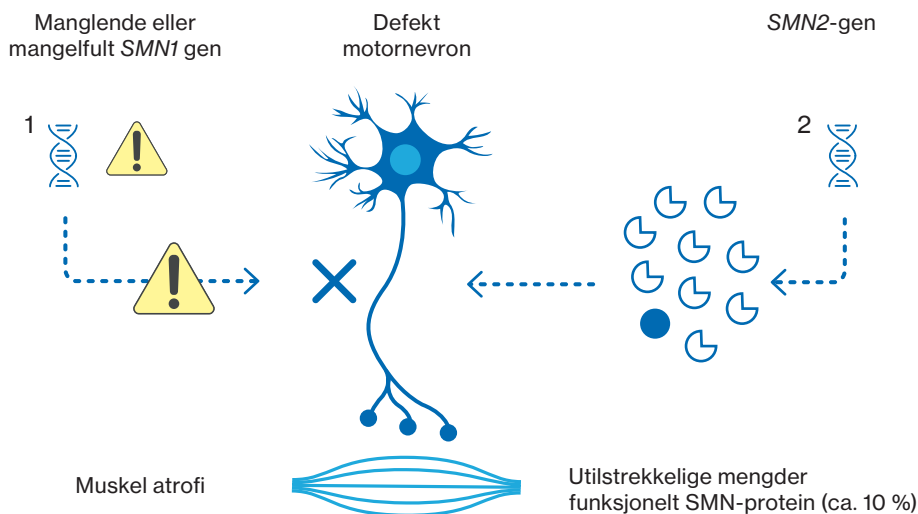
Debut alder	Fødsel	≤6 måneder	6–18 måneder	>18 måneder	≥18 år
Funksjonsevne	Fosteret kan bli påvirket før fødselen	Kan ikke sitte alene	Kan sitte og stå, kan ikke gå på egenhånd	Selvstendig gange	Selvstendig gange inn i voksen alder
Klassifikasjon	SMA type 0	SMA type 1	SMA type 2	SMA type 3	SMA type 4
Alvorlighetsgrad					

Uten intervensjon eller behandling har barn med mer alvorlige former for SMA en forkortet levetid. Med tidlig medisinsk intervensjon og behandling kan forverringen av sykdommen avta, og barn kan det ofte være mulig og oppnå milepæler som sjelden ses under sykdommens naturlige forløp.

## Hva skyldes SMA?

Et protein som kalles SMN-protein (survival motor neuron) er avgjørende for at motornevronene skal kunne fungere som de skal. Uten SMN-protein slutter motornevronene i ryggmargen å fungere, og musklene blir svakere. SMN-proteinet produseres i kroppen ut fra SMN-gener.

Ved SMA er det viktigste *SMN*-genet, *SMN1*, defekt eller mangler. Det finnes et annet *SMN*-gen, *SMN2*, som fungerer mer som en "reserve" og bare produserer små mengder SMN-protein. Ved SMA produseres det ikke nok SMN-protein, og motornevronene slutter å fungere, noe som fører til at musklene blir svakere.



● Funksjonelt SMN-protein

☾ Ikke funksjonelt SMN-protein

# Hvordan får du SMA?

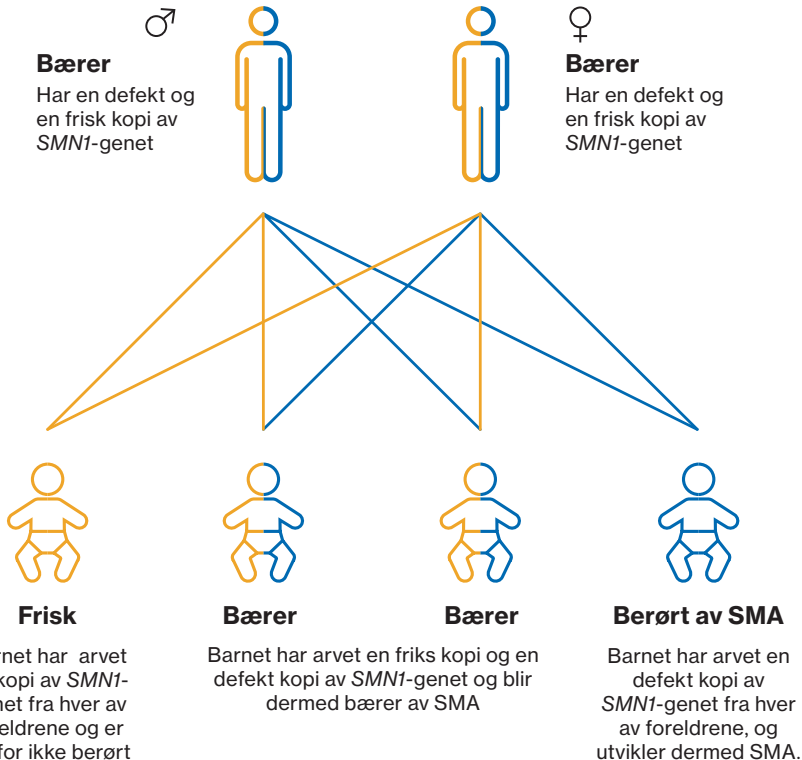
SMA er vanligvis arvelig, men i noen tilfeller skyldes sykdommen en tilfeldig feil i *SMN1*-genet. Barn arver to kopier av *SMN1*-genet, én kopi fra hver av foreldrene. Halvparten av barnets genetiske informasjon kommer fra moren og halvparten fra faren. Personer med ett friskt og ett defekt *SMN1*-gen kalles bærere, og de viser normalt ingen tegn på SMA. Hvis begge foreldrene er bærere, er det i praksis 25 % sjanse for at barnet arver og utvikler SMA.



Rundt **1 av 50** personer er bærere av SMA



SMA rammer ca. **1 av 10 000-12 000** nyfødte, og kan ramme mennesker fra enhver etnisk bakgrunn eller kjønn



# Om Zolgensma?

**Zolgensma brukes til å behandle spedbarn og små barn som har SMA. Zolgensma er en type behandling som kalles «genterapi».**

Zolgensma består av et modifisert virus, AAV9, som inneholder en fullt fungerende kopi av SMN-genet (genet som er defekt ved SMA). AAV9-viruset i Zolgensma brukes til å transportere erstatningsgenet inn i kroppen og cellene der det trengs

# 1

I Zolgensma plasseres SMN-genet i et modifisert virus (AAV9) som ikke forårsaker sykdom hos mennesker.



AAV9

AAV9 DNA



AAV9 hvor DNA er fjernet



Zolgensma

# 2

Zolgensma gis intravenøst (i en vene) til barnet ditt.



Zolgensma



# 3

Det modifiserte viruset i Zolgensma beveger seg gjennom kroppen og leverer SMN-genet til cellene der det er nødvendig.



Zolgensma



Barnets celler

# 4

Ved å levere en fullt fungerende kopi av SMN-genet, hjelper Zolgensma kroppen til å produsere nok SMN-protein



SMN protein



## Zolgensma ved fremskreden SMA

Zolgensma kan redde motornevroner som fortsatt er i live og i stand til vekst, men ikke døde motornevroner. Barn med mindre alvorlige symptomer på SMA kan ha nok levende motornevroner til å dra nytte av Zolgensma-behandling. Det er ikke sikkert Zolgensma virker like godt hos barn med alvorlige symptomer.

# Informasjon om risikoene ved bruk av Zolgensma

Som alle legemidler kan Zolgensma ha bivirkninger, men ikke alle får det.

**Hvis barnet ditt opplever bivirkninger, må du snakke med legen til barnet ditt, sykepleier, farmasøyt eller annet helsepersonell umiddelbart.**



## Viktig sikkerhetsinformasjon og når du bør oppsøke lege



### Leverproblemer

Informer barnets lege før legemidlet blir gitt dersom barnet har eller har hatt leverproblemer. I noen tilfeller kan Zolgensma forårsake en immunrespons som kan føre til en økning i enzymer (proteiner i kroppen) som produseres i leveren, eller kan skade leveren.

Leverskader kan føre til alvorlige hendelser inkludert leversvikt og død. Mulige tegn du må være oppmerksom på etter at barnet har fått dette legemidlet, omfatter oppkast, gulsott (gulfarging av huden eller det hvite i øynene) eller redusert årvåkenhet. Snakk med barnets lege umiddelbart hvis du oppdager at barnet utvikler symptomer som tyder på skade i leveren.



### Unormal blodpropp

Zolgensma kan øke risikoen for unormal koagulering av blod i små blodårer (trombotisk mikroangiopati) vanligvis i løpet av de første 2 ukene etter behandlingen med Zolgensma. Disse blodproppene kan påvirke barnets nyrer. Informer legen din umiddelbart dersom du oppdager tegn og symptomer som at barnet lett får blåmerker, anfall (kramper) eller har redusert urinmengde.

Vær svært oppmerksom på disse tegnene og symptomene siden unormal blod koagulering (trombotisk mikroangiopati) kan være livstruende hvis det ikke blir behandlet.



## Lavt blodplatetall

Zolgensma kan senke antall blodplater (trombocytopeni), vanligvis i løpet av de første 3 ukene etter behandlingen med Zolgensma. Mulige tegn på lavt antall blodplater du må se opp for etter at barnet får Zolgensma omfatter unormale blåmerker eller blødninger.

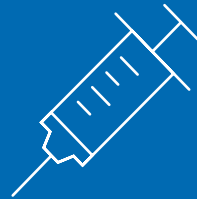
Snakk med legen hvis du ser tegn på at blåmerker eller blødninger varer lengere enn vanlig hvis barnet ditt har skadet seg.



## Forhøyet Troponin-I

Zolgensma kan øke nivået av et hjerteprotein som kalles troponin-I, som kan indikere skade på hjertet. Du må være på vakt for mulige tegn på hjerteproblemer etter at barnet har fått Zolgensma, som blek grå eller blålig hudfarge, pustevansker (f.eks. rask pust, kortpustethet), hevelse i armer og ben eller i magen.

Det vil bli tatt blodprøver for å sjekke leverfunksjon, nyrefunksjon, antall blodceller (inkludert røde blodceller og blodplater) og troponin-I-nivå før behandling med Zolgensma. I minst 3 måneder etter behandlingen vil det bli tatt regelmessige blodprøver av barnet for å kontrollere leverfunksjonen og for å se etter endringer i blodplater og troponin-I-nivåer. Avhengig av verdiene og andre tegn og symptomer, kan det være nødvendig med ytterligere undersøkelser. Varigheten av testingen avgjøres av barnets lege.



Se pakningsvedlegget som følger med barnets medisin for mer informasjon om Zolgensma. Ikke nøl med å snakke med barnets lege hvis du har spørsmål.

## Informasjon om risikoene ved bruk av Zolgensma (fortsettelse)

**Som alle legemidler kan Zolgensma ha bivirkninger, men ikke alle får det.**

**Hvis barnet ditt opplever bivirkninger, må du snakke med legen til barnet ditt, sykepleier, farmasøyt eller annet helsepersonell umiddelbart.**



### Allergier

Barnet må ikke få Zolgensma dersom det er allergisk overfor noen av innholdsstoffene (innholdsstoffene er listet opp i avsnitt 6 i pakningsvedlegget som følger med barnets legemiddel).



### Kortikosteroider

Barnet ditt vil også få kortikosteroider (prednisolon eller tilsvarende) i en periode før og etter behandling med Zolgensma. Hvor lenge barnet ditt vil få kortikosteroider etter behandlingen med Zolgensma avgjøres av legen og vil variere avhengig av leverenzymverdiene og andre tegn og symptomer. Varigheten vil være minst 2 måneder.

Kortikosteroider vil bidra til å håndtere enhver potensiell økning i leverenzymmer som barnet kan utvikle etter en immunrespons på Zolgensma. Dosen med kortikosteroid som barnet vil få vil bli beregnet av barnets lege avhengig av barnets vekt.

Mens barnet får kortikosteroider kan det oppstå nye infeksjoner eller andre vanlige barnesykdommer som kan trenge behandling med andre legemidler. Før behandling med andre medisiner, eller hvis du har spørsmål om kortikosteroider, er det viktig å snakke med barnets lege, sykepleier, farmasøyt eller annet helsepersonell.



## Andre legemidler og Zolgensma

Zolgensma vil kun bli gitt til barnet ditt én gang. Rådfør deg med lege eller sykepleier dersom barnet bruker, nylig har brukt eller planlegger å bruke andre legemidler



## Infeksjon

Barnet ditt kan ha fått svakere immunforsvar på grunn av kortikosteroidene. Det betyr at infeksjoner som vanligvis ikke er farlige for friske personer kan føre til at barnet ditt blir alvorlig sykt. Hvis barnet ditt utvikler en infeksjon (f.eks. forkjølelse, influensa eller bronkiolitt) **før** eller **etter** behandling med Zolgensma, kan dette muligens føre til andre mer alvorlige komplikasjoner som kan kreve umiddelbar medisinsk behandling.

Snakk med barnets lege umiddelbart hvis du oppdager at barnet utvikler tegn eller symptomer som tyder på infeksjon **før** eller **etter** behandlingen med Zolgensma, slik som:

- Hoste
- Nysing
- Sår hals
- Pipende pust
- Rennende nese
- Feber

Før og etter behandlingen med Zolgensma er det viktig å forebygge infeksjoner ved å unngå situasjoner som kan øke risikoen for at barnet skal få infeksjoner. Du og andre nære kontakter til barnet kan hindre infeksjoner ved å ha god håndhygiene, god hoste-/nyseetikette, og begrense potensielle kontakter.

## Informasjon om risikoene ved bruk av Zolgensma (fortsettelse)

### Oppsummering: kontakt lege umiddelbart hvis barnet utvikler noen av de følgende tegnene eller symptomene:

- **Blåmerker** eller **blødninger** lenger enn vanlig hvis barnet har blitt skadet – dette kan være tegn på lavt antall blodplater (trombocytopeni).
- Får lett **blåmerker, anfall (kramper)** eller **redusert urinproduksjon** – dette kan være tegn på unormal koagulering av blod i små blodårer (trombotisk mikroangiopati). Vær svært oppmerksom på disse tegnene og symptomene siden unormal blod koagulering kan være livstruende hvis det ikke blir behandlet.
- **Oppkast, gulsott** (gulfarging av huden eller det hvite i øynene), eller **nedsett årvåkenhet** – dette kan være tegn på mulige problemer med leveren (inkludert leversvikt).
- **Blek grå eller blålig hudfarge, pustevansker** (f.eks. hurtig pust, kortpustethet), **hevelse i armer og ben eller i magen** – dette kan være tegn på mulige hjerteproblemer.
- **Hoste, hvesing, nysing, rennende nese, sår hals, eller feber** – dette kan være tegn på infeksjon (f.eks. forkjølelse, influensa eller bronkiolitt).

# Behandling med Zolgensma

Trinnene på de følgende sidene vil hjelpe deg og familien din med å forstå hva dere kan forvente dere videre



# 1. Før behandling

**For å avgjøre om Zolgensma er egnet for barnet ditt, vil barnets lege utføre tester for antistoffer før behandling**



## AAV9 antistofftest

Antistoffer produseres av kroppens immunsystem for å bidra til å beskytte den mot sykdom. Tilstedeværelsen av visse antistoffer, kalt AAV9-antistoffer, kan føre til at barnet får en immunrespons mot Zolgensma. For å avgjøre om Zolgensma er egnet for barnet ditt, vil barnets lege utføre tester for antistoffer før behandling.

Barnet ditt kan ha forhøyede AAV9-antistoffverdier. Hvis barnet er nyfødt, kan det være antistoffer som har blitt overført fra mor til barn under svangerskapet, og disse økningene vil ofte avta over tid etter fødselen. Hvis barnet ditt har forhøyede AAV9-antistoffverdier etter den første testen, kan dette testes på nytt etter en viss tid. Hvis du har spørsmål, kan du spørre barnets lege.



## Blodprøver

Før behandling med Zolgensma vil det bli tatt blodprøver av barnet for å kontrollere og fastsette baselinenivåer for:

- Leverfunksjon
- Nyrefunksjon
- Mengden blodceller (inkludert røde blodceller og blodplater)
- Troponin-I-nivå

Disse målingene vil hjelpe legen din til å overvåke barnets nivåer etter behandling med Zolgensma.





## Kortikosteroider

24 timer før behandling med Zolgensma vil barnet få kortikosteroider (prednisolon eller tilsvarende) for å håndtere potensielle økninger i leverenzymmer.

Dosen med kortikosteroid som barnet vil få vil bli beregnet av barnets lege avhengig av barnets vekt. For å sikre at barnet ikke går glipp av dosering av kortikosteroider, må du si ifra til barnets lege, sykepleier, farmasøyt eller annet helsepersonell ved oppkast før behandling med Zolgensma.



## Infeksjon

Det er viktig at du informerer barnets lege, sykepleier, farmasøyt eller annet helsepersonell umiddelbart hvis barnet utvikler symptomer som tyder på infeksjon **før** og **etter** Zolgensma. Hvis barnet utvikler tegn eller symptomer som tyder på infeksjon før behandling med Zolgensma, kan det være nødvendig å utsette infusjonen til infeksjonen er borte. Hvis barnet utvikler symptomer etter behandling med Zolgensma, kan det føre til medisinske komplikasjoner som kan kreve akutt medisinsk behandling.

[Se side 13 for tegn på mulig infeksjon.](#)



## Generell helsetilstand

Før barnet blir behandlet med Zolgensma er det viktig at helsetilstanden er tilfredsstillende, hvis ikke kan det være nødvendig å utsette behandlingen. Dette inkluderer at barnet er hydrert, er velernært og ikke har noen aktive infeksjoner. Hvis du har noen bekymringer angående barnets helsetilstand før behandlingen med Zolgensma, snakk med barnets lege, sykepleier, farmasøyt eller annet helsepersonell.

## 2. På behandlingsdagen

**Barnets medisinske team vil sikre at du vet nøyaktig hva du kan forvente på behandlingsdagen og hva du må gjøre.**



### Kortikosteroider

Barnet har fått den første dosen av kortikosteroider (prednisolon eller tilsvarende) 24 timer før behandling med Zolgensma. [Se side 17 for informasjon om dosering av kortikosteroider før behandling med Zolgensma.](#)

På behandlingsdagen vil barnet ditt få sin andre dose orale kortikosteroider (prednisolon eller tilsvarende) som forskrevet. Doseringsregimet med kortikosteroider er viktig for å håndtere eventuell økning av leverenzymnivået og vil fortsette i en periode etter behandlingen. Se side 21 for informasjon om dosering av kortikosteroider etter behandling med Zolgensma.

For å sikre at barnet ikke går glipp av dosering av kortikosteroider, må du si ifra til barnets lege, sykepleier, farmasøyt eller annet helsepersonell ved oppkast etter behandling med kortikosteroider.



### Barnet får Zolgensma kun ÉN GANG.



### Zolgensma-infusjon

Barnet vil få Zolgensma i form av én enkelt intravenøs infusjon. Dette innebærer å plassere et kateter (plastrør) i en av barnets vener ved hjelp av en nål. Et sekundært, ekstra kateter vil også bli satt inn i tilfelle blokkering i det primære kateteret. Infusjonen gis av en lege eller sykepleier med opplæring i håndtering av SMA. Infusjonen vil ta ca. 60 minutter.

Mengden Zolgensma barnet ditt vil få, beregnes av barnets lege avhengig av barnets vekt.

## 3. Etter behandling

Varigheten av sykehusinnleggelsen etter behandling med Zolgensma vil bli bestemt av barnets lege. Hvis du har spørsmål, kan du snakke med barnets medisinske team.



### Mulige bivirkninger

Som alle legemidler kan dette legemidlet forårsake bivirkninger, men ikke alle får det.

Oppsøk lege umiddelbart hvis barnet utvikler noen av følgende alvorlige bivirkninger eller symptomer.



- **Blåmerker** eller **blødninger** lenger enn vanlig hvis barnet har blitt skadet – dette kan være tegn på lavt antall blodplater (trombocytopeni).
- Får lett **blåmerker, anfall (kramper)** eller **reduisert urinproduksjon** – dette kan være tegn på unormal koagulering av blod i små blodårer (trombotisk mikroangiopati). Vær svært oppmerksom på disse tegnene og symptomene siden unormal koagulering kan være livstruende hvis det ikke blir behandlet.
- **Oppkast, gulsott** (gulfarging av huden eller det hvite i øynene), eller **nedsett årvåkenhet** – dette kan være tegn på mulige problemer med leveren (inkludert leversvikt).
- **Blek grå** eller **blålig hudfarge, pustevansker** (f.eks. hurtig pust, kortpustethet), **hevelse i armer og ben eller i magen** – dette kan være tegn på mulige hjerteproblemer.
- **Hoste, pipende pust, nysing, rennende nese, sår hals** eller **feber** – dette kan være tegn på infeksjon (f.eks. forkjølelse, influensa eller bronkiolitt).

## 3. Etter behandling *(fortsettelse)*

**Snakk med barnets medisinske team umiddelbart dersom barnet opplever andre bivirkninger. Disse kan omfatte:**

**Svært vanlige** (kan forekomme hos flere enn 1 av 10 personer)

- Økt nivå av leverenzymmer påvist ved blodprøver

**Vanlige** (kan forekomme hos opptil 1 av 10 personer)

- Oppkast
- Feber

### Rapportering av bivirkninger:

Hvis barnet opplever bivirkninger, eller du er redd for at noe kan være galt, oppsøk umiddelbart barnets lege, sykepleier, farmasøyt eller annet helsepersonell.

Dette gjelder også for mulige bivirkninger som ikke er nevnt i denne veiledningen eller i pakningsvedlegget som følger med barnets medisin.

Bivirkninger kan meldes på elektronisk skjema til Legemiddelverket: [www.dmp.no/pasientmelding](http://www.dmp.no/pasientmelding)  
Ved å melde fra om bivirkninger bidrar du med informasjon om sikkerheten til dette legemidlet.



## Kortikosteroider

Barnet ditt vil få kortikosteroidbehandling daglig i ca. 2 måneder etter å ha mottatt Zolgensma. Denne perioden kan forlenges hvis barnets leverenzymmer ikke reduseres raskt nok til et akseptabelt nivå. Dosen med kortikosteroid som gis til barnet ditt, vil bli redusert langsomt i denne perioden inntil behandlingen kan stoppes helt.

Barnets medisinske team vil avgjøre og forklare når og hvordan de vil stoppe behandlingen av barnet ditt. For å sikre at barnet ikke går glipp av dosering av kortikosteroider, må du si ifra til barnets lege, sykepleier, farmasøyt eller annet helsepersonell ved oppkast eller glemte doser (**av en eller annen grunn**) etter behandling med Zolgensma. [Ikke avslutt behandlingen med kortikosteroider før du har diskutert det med barnets lege.](#)

**Hvis du har spørsmål om kortikosteroider, snakk med barnets lege, sykepleier eller farmasøyt/annet helsepersonell.**



## 3. Etter behandling (fortsettelse)



### Regelmessige oppfølging

Etter behandling med Zolgensma vil barnet fortsatt overvåkes regelmessige av helsepersonell. Barnet vil trenge oppfølgingsbesøk som kan være generell oppfølging, fordi barnet opplever bivirkninger, eller hvis du er bekymret eller har spørsmål.

Passende standard behandling for pasienter med SMA er nødvendig og vil bli gitt, inkludert støttende behandling. Det er viktig å diskutere med barnets lege hvordan helsepersonell vil fortsette og støtte barnet ditt.



### Regelmessige blodprøver

Etter behandling med Zolgensma vil det bli tatt regelmessige blodprøver av barnet ditt for å undersøke:

- Leverfunksjon – disse testene vil utføres i minst 3 måneder etter behandlingen for å overvåke eventuelle økninger i leverenzymmer. Hvis barnets leverfunksjon blir dårligere etter behandlingen med Zolgensma, eller de viser tegn på sykdom, vil de umiddelbart bli kontrollert og bli nøye overvåket av legen.
- Blodplatetall og troponin-I – disse tas i en periode etter behandling for å overvåke endringer i blodplate- og troponin-I-nivåer.

Avhengig av resultatene på disse blodprøvene og andre tegn og symptomer, kan det være nødvendig med ytterligere tester. Det er viktig å ta blodprøvene i henhold til den oppsatte tidsplanen og umiddelbart kontakte barnets behandlere og fortelle dem om alle tegn og symptomer som barnet utvikler etter at de har blitt behandlet.



## Håndtering av barnets kroppsavfall

Noen av virkestoffene i Zolgensma kan utskilles gjennom barnets kroppsavfall etter behandling. Du og andre som tar vare på barnet ditt må følge god håndhygiene som beskrevet nedenfor i **minst 1 måned** etter at barnet ditt har fått behandling med Zolgensma.



**Bruk beskyttelseshansker** når du kommer i direkte kontakt med barnets kroppsvæsker (urin) eller avfall (avføring).



**Vask hendene grundig** etterpå med såpe og varmt, rennende vann eller et alkoholbasert hånddesinfeksjonsmiddel.



**Bruk doble plastposer** til å kaste skitne bleier og annet avfall. Engangsbleier kan deretter kastes i husholdningsavfallet.

**Hvis du har spørsmål om hvordan du skal håndtere barnets kroppsavfall, snakk med barnets lege, sykepleier, farmasøyt eller annet helsepersonell.**

## 3. Etter behandling (fortsettelse)

### Støttende behandling

Selv om Zolgensma leverer en fullt fungerende kopi av SMN-genet, har barnet fortsatt SMA.

Ytterligere støttebehandlinger som brukes til å pleie personer med SMA omfatter:



Ortopediske  
behandlinger



Fysioterapi



Støtte med ernæring,  
spising og drikking



Pustestøtte, for  
eksempel med  
sovemaske



Forebygging av  
luftveisinfeksjoner (f.eks.  
forebygging av influensa  
og lungebetennelse med  
vaksinasjoner)



Fjerning av  
sekreter fra  
luftveiene

**Barnets helseteam vil samarbeide med deg for å sikre at barnets støttende omsorgsbehov blir ivaretatt.**





## Når bør man søke legehjelp

### Oppsøk øyeblikkelig legehjelp i følgende situasjoner:



I noen tilfeller kan Zolgensma påvirke leverfunksjonen og føre til leverskade. Mulige tegn du må være oppmerksom på etter at barnet har fått dette legemidlet, omfatter **oppkast, gulsott** (gulfarging av huden eller det hvite i øynene) eller **redusert årvåkenhet**.

Zolgensma kan senke antall blodplater (trombocytopeni). Snakk med legen din hvis du ser tegn som **blåmerker** eller **blødninger** lenger enn vanlig hvis barnet har blitt skadet.

Zolgensma kan øke risikoen for unormal koagulering av blod i små blodårer (trombotisk mikroangiopati). Informer legen din umiddelbart dersom du ser tegn og symptomer på at barnet **lett får blåmerker, anfall (kramper) eller redusert urinmengde**.

Zolgensma kan forårsake økte nivåer av et hjerte-/kardialspesifikt protein kalt "troponin-I", som kan indikere skade på hjertet. Snakk med legen din umiddelbart dersom du ser tegn og symptomer som **blek grå eller blålig hudfarge, pustevansker** (f.eks. hurtig pust, kortpustethet) eller **hevelse i armer og ben eller i magen**.

Informér legen din dersom barnet **kaster opp før eller etter behandling** med Zolgensma for å sikre at barnet ditt ikke går glipp av dosering av kortikosteroider (prednisolon eller tilsvarende).

Informér legen din umiddelbart dersom barnet ditt utvikler tegn eller symptomer som tyder på infeksjon (f.eks. forkjølelse, influensa eller bronkiolitt) **før eller etter** behandling med Zolgensma, da dette muligens kan føre til andre mer alvorlige komplikasjoner som kan kreve akutt medisinsk behandling. Tegn du må se etter er **hoste, hvesing, nysing, rennende nese, sår hals** eller **feber**.

## Legens kontaktinformasjon

Barnet ditt vil bli overvåket etter infusjonen med Zolgensma av et team med helsepersonell. Hvis du er bekymret for noe eller ønsker å snakke med barnets lege eller annet helsepersonell, kan du bruke skjemaet nedenfor til å skrive ned kontaktinformasjonen.

**Navn:**  
**Rolle:**  
**Telefonnummer:**  
**e-post adresse:**

**Navn:**  
**Rolle:**  
**Telefonnummer:**  
**e-post adresse:**

**Navn:**  
**Rolle:**  
**Telefonnummer:**  
**e-post adresse:**

**Navn:**  
**Rolle:**  
**Telefonnummer:**  
**e-post adresse:**

**Navn:**  
**Rolle:**  
**Telefonnummer:**  
**e-post adresse:**

**Navn:**  
**Rolle:**  
**Telefonnummer:**  
**e-post adresse:**

## Lokale pasientforeninger



Det finnes mange pasientforeninger i verden som kan støtte deg og barnet ditt som har SMA. De kan gi informasjon om SMA, siste forskningsresultater og støtte i samfunnet. Snakk med legen eller det medisinske teamet som kan informere deg om de lokale gruppene.

## Vanlige ord du bør kjenne til

### Adenoassosiert virus 9 (AAV9)

Adenoassosiert virus 9 (AAV9) er en type virus. AAV9 kan modifiseres slik at det ikke forårsaker sykdom hos mennesker. I Zolgensma brukes den modifiserte AAV9-vektoren til å levere en fullt fungerende kopi av SMN-genet.

### Antistoffer

Antistoffer produseres av kroppens immunsystem for å beskytte den mot sykdom. Hver type antistoff er unik og forsvarer kroppen mot en spesifikk type sykdom.

### Atrofi

Atrofi betyr å svinne hen eller krympe. En muskel som svinner hen kalles for eksempel for en atrofiert muskel.

### Bivirkning

En bivirkning er en sekundær, og vanligvis uønsket, effekt av et legemiddel.

### Blodplater

En type celler som finnes i blodet som får blodet til å koagulere.

### Deoksyribonukleinsyre (DNA)

DNA, eller deoksyribonukleinsyre, er det arvelige materialet hos mennesker og nesten alle andre organismer. Nesten alle celler i kroppen har samme DNA.

### Genbehandling

Genterapi er en måte å behandle eller forebygge sykdomsprogresjon ved hjelp av gener. Det finnes ulike typer genbehandling som virker på ulike måter. Dette omfatter å erstatte eller reparere manglende eller defekte gener, legge til et nytt gen for å hjelpe et annet legemiddel til å fungere bedre, eller stoppe instruksjonene fra et gen som produserer for mye av et protein som deretter blir giftig for kroppen.

### Gener

Instruksjonssett som kan fortelle kroppen hvordan den lager proteiner. Genene kommer i par: én kopi arvet fra hver av foreldrene.

### Genetisk sykdom

En medisinsk tilstand forårsaket av et defekt eller manglende gen eller gener. Genetiske sykdommer er arvelige. SMA er et eksempel på en genetisk sykdom.

### Hjernestamme

Hjernestammen er en del av hjernen som støtter kritiske funksjoner i kroppen, inkludert pusting og søvn. Hjernestammen kobler ryggmargen sammen med resten av hjernen.

### **Intravenøs infusjon**

En infusjon i en vene med et kateter (plastrør), som føres inn i venen med en nål.

### **Kortikosteroider**

Kortikosteroider er en type legemiddel som undertrykker immunsystemet for å prøve å bidra til å håndtere eventuell økning av leverenzymmer etter behandling med Zolgensma.

### **Motornevron**

Disse spesielle nervene overfører signaler fra hjernen til musklene for å kontrollere bevegelsene. Det finnes to typer motornevroner: øvre motornevroner, som frakter signaler fra hjernen til hjernestammen og ryggmargen og nedre motornevroner, som frakter signaler fra de øvre motornevronene til musklene.

### **Prednisolon**

Prednisolon er en type legemiddel som kalles kortikosteroid og som bidrar til å håndtere eventuell økning av leverenzymmer etter behandling med Zolgensma.

### **Proteiner**

Proteiner er viktige molekyler som er involvert i nesten alle funksjoner i kroppen. Proteiner bidrar til å bygge opp kroppens celler, samtidig som de hjelper cellene med å transportere og produsere viktige stoffer, reparere og overleve.

### **SMN1-gen**

SMN1-genet er det primære SMN-genet, og produserer SMN-proteinet som motornevronene trenger for å fungere ordentlig. Hos personer med SMA er begge kopiene av dette genet defekte eller mangler. Dette betyr at kroppens celler ikke kan produsere nok SMN-protein.

### **SMN2-gen**

SMN2-genet fungerer som en "back-up" for å støtte produksjon av SMN-proteiner. SMN2 produserer bare små mengder funksjonelt SMN-protein.

### **Spinal muskelatrofi (SMA)**

Spinal muskelatrofi (SMA) er en sjelden sykdom som fører til at musklene gradvis blir svakere, fordi spesialiserte nerveceller i kroppen som kontrollerer muskelbevegelser, kalt motornevroner, slutter å virke. Motornevronene forringes og slutter å virke fordi de ikke har nok SMN-protein.

### **Survival motor neuron (SMN) protein**

SMN-protein er avgjørende for at motornevroner skal fungere ordentlig og overleve. Uten nok SMN-proteiner forringes motornevroner og slutter å virke. SMN-proteinet produseres av kroppen via SMN-genet.





Mer utfyllende informasjon om Zolgensma og siste oppdaterte pakningsvedlegg kan finnes på [www.felleskatalogen.no](http://www.felleskatalogen.no).

Denne veiledningen er laget av Novartis Europharm Limited. Informasjonen er kun for opplæringsformål og er ikke ment å erstatte samtaler med lege eller helseteam. Informasjonen er relatert til spinal muskelatrofi og er ment som en generell oversikt.

NOVARTIS NORGE AS  
PB 4284 Nydalen, 0401 OSLO  
Tlf. +47 23 05 20 00  
[www.novartis.no](http://www.novartis.no)

© 2024 Novartis Europharm Limited. Med enerett.

