

עלון לצרכן לפי תקנות הרוקחים  
(תכשירים) התשמ"ו - 1986

התרופה משווקת על פי מרשם רופא בלבד

## זולג'נסמה

### תרחיף לעירוני תוך-ורידי

הרכב

החומר הפעיל: אונסמנוגן אבפרובוק

abeparvovec Onasemnogene

כל בקבוקון מכיל:  $2.0 \times 10^{13}$  mL/vg

לרשימה של החומרים הבלתי פעילים ראה סעיף 6 "מידע נוסף".

קרא בעיון את העלון עד סופו בטרם תשתמש בתרופה. עלון זה מכיל מידע תמציתי על התרופה. אם יש לך שאלות נוספות, פנה אל הרופא או אל הרוקח. תרופה זו נרשמה לטיפול עבור ילדך. אל תעביר אותה לאחרים. היא עלולה להזיק להם אפילו אם נראה לך כי מחלתם דומה.

בנוסף לעלון, לתכשיר זולג'נסמה קיים מידע בטיחותי למטופל - עלון הדרכה להורים. כרטיס זה מכיל מידע בטיחותי חשוב, שעליך לדעת לפני התחלת הטיפול ובמהלך הטיפול בזולג'נסמה ולפעול על פיו. יש לעיין בכרטיס מידע בטיחותי למטופל ובעלון לצרכן בטרם תחילת השימוש בתכשיר. יש לשמור את הכרטיס לעיון נוסף בעת הצורך.

#### אזהרה: פגיעה כבדית חריפה חמורה, כשל כבדי או עלייה באנזימי כבד

התרופה עלולה לגרום לעלייה ברמות של אנזימי כבד, וכתוצאה מכך ייתכן נזק חמור לכבד או כשל כבדי. מטופלים עם ליקוי קיים בתפקוד הכבד עשויים להיות בסיכון מוגבר.

לפני הזרקת התרופה יש לבצע בדיקת תפקודי כבד.

מסיבה זו יש לתת למטופל תרופה סטראואידית בבליעה החל מיום לפני הטיפול בזולג'נסמה, ובמשך 30 יום נוספים לפחות לאחר מתן הטיפול החד-פעמי. לאחר הטיפול, המטופל יעבור סדרת בדיקות דם שגרתיות בכדי לנטר את תפקודי הכבד. יש לנטר תפקודי הכבד לפחות 3 חודשים לאחר מתן הטיפול.

#### 1. למה מיועדת התרופה?

זולג'נסמה הינה טיפול גנטי שמכיל וקטור ויראלי ומיועדת לטיפול בילדים עד גיל שנתיים, המאובחנים כחולים ב-SMA (ניוון שרירים שידרתי) עם מוטציה בגן SMN1.

קבוצה תרפויטית: תכשירים לריפוי גני.

כיצד התרופה פועלת:

מחלת ה-SMA נובעת מפגם בגן הנקרא SMN1. הפגם בגן זה מוביל לייצור בלתי מספק של חלבון הנקרא SMN2. זולג'נסמה הינה טיפול גנטי, היא מכילה וקטור ויראלי שמעביר את הגן המקודד לחלבון החסר. לאחר מתן זולג'נסמה, הגוף יוכל לייצר את החלבון החסר בכמות מספיקה ובצורה תקינה.

#### 2. לפני השימוש בתרופה

אין להשתמש בתרופה

אם ילדך רגיש (אלרגי) לחומר הפעיל (abeparvovec Onasemnogene) או לכל אחד מהמרכיבים הנוספים אשר מכילה התרופה (כמפורט בסעיף 6).

#### אזהרות מיוחדות הנוגעות לשימוש בתרופה

##### פגיעה כבדית חריפה חמורה

התרופה עלולה לגרום לעלייה ברמות של אנזימי כבד, וכתוצאה מכך ייתכן נזק חמור לכבד או כשל כבדי. מטופלים עם ליקוי קיים בתפקוד הכבד עשויים להיות בסיכון מוגבר.

לפני הזרקת התרופה יש לבצע בדיקת תפקודי כבד.

מסיבה זו יש לתת למטופל תרופה סטראואידית בבליעה החל מיום לפני הטיפול בזולג'נסמה, ובמשך 30 יום נוספים לפחות לאחר מתן הטיפול החד-פעמי. לאחר הטיפול, המטופל יעבור סדרת בדיקות דם שגרתיות בכדי לנטר את תפקודי הכבד. יש לנטר תפקודי הכבד לפחות 3 חודשים לאחר מתן הטיפול.

יש ליידע את הרופא המטפל במקרים של גוון עור או עיניים צהבהב, כאשר המטופל מפספס מנת סטראואידים או כאשר הוא מקיא אותה או אם המטופל חווה ירידה בעירנות.

**מחלות זיהומיות** (כגון צינון, שפעת, דלקת סמפונות – ברונכיוליטיס, דלקת באוזן תיכונה, דלקת קיבה ומעי) לפני או אחרי הטיפול בזולג'נסמה עלולות להוביל לסיבוכים חמורים. יש לשים לב לסימנים אפשריים למחלות אלו כגון שיעול, חרחורים, התעטשויות, נזלת, כאבי גרון או חום. יש ליידע את הרופא המטפל מיד במקרים של הופעת תסמינים המצביעים על זיהום אפשרי.

##### תרומבוציטופניה – רמה נמוכה של טסיות

זולג'נסמה עלולה להביא לירידה בספירת הטסיות בדם ולגרום לעלייה בסיכון להופעת חבלות או דימומים. יש לבצע ספירת טסיות בכל שבוע במשך החודש הראשון לטיפול ולאחר מכן כל שבועיים במשך החודש השני והשלישי עד שרמת הטסיות בדם חוזרת לנורמה.

יש ליידע את הרופא המטפל במקרים של סימני חבלה

("מכות כחולות") או דימום.

##### מיקרואנגיופתיה טרומבוצית (TMA)

יש ליידע את ההורים והמטפלים כי זולג'נסמה עשויה להוריד את רמות הטסיות בדם כמו גם את ספירת הכדוריות האדומות, עשויה לגרום לפגיעה כלייתית אקוטית, ועלייה בסיכון לדם וחבלות, סימפטומים אלו עשויים להצביע על TMA.

יש ליידע את ההורים והמטפלים כי TMA הינה תופעה שדווחה תחת טיפול בזולג'נסמה, ועשויה להתרחש כשבוע לאחר עירוני זולג'נסמה. יש לעדכן את ההורים והמטפלים לפנות מיד לרופא המטפל באם ישנה הופעה של חבורות או דמם, פרכוס, או ירידה במתן שתן לאחר הטיפול בזולג'נסמה.

##### כמות טרופונין-I (חלבון המשורר לפעילות הלב)

תוכן עלייה ברמות בדם של חלבון זה. לכן בדיקה לרמת החלבון תבצע כל שבוע בחודש הראשון לאחר הטיפול ולאחר מכן פעם בחודש, בחודש השני והשלישי, עד שהרמות חוזרות לנורמה.

##### טיפול בהפרשות הגוף

זולג'נסמה מתפנה מהגוף בעיקר דרך הפרשות המטופל.

לכן, במשך כחודש לאחר העירוי, חיתולים עם צואה יש לשים בשתי שקיות פלסטיק ולזרוק בפח רגיל. כמו כן יש להקפיד על שטיפת ידיים לאחר מגע עם צואה, הפרשות ונוזלי גוף.

##### מתן בפנים

מתן זולג'נסמה לפנים לפני הגעתם לגיל הלידה המלא אינו מומלץ כיוון שהטיפול הנלווה הנדרש בסטראואידים עשוי לפגוע בהתפתחותם הנירולוגית.

##### בדיקות ומעקב

לפני ולאחר מתן עירוי זולג'נסמה, הרופא יפנה את ילדך לבדיקות:

- תפקודי כבד (ראה פירוט באזהרה שלעיל).

- ספירת טסיות דם וטרופונין-I (ראה פירוט באזהרה שלעיל).

- נוכחות נוגדני אנטי-9AAV.

##### אינטראקציות/תגובות בינו תרופות

יש להתיעץ עם הרופא לגבי מועד קבלת חיסון לפני מתן התרופה ולאחריה, ובמיוחד בחיסונים MMR (חצבת, חזרת, אדמת), varicella (אבעבועות רוח) וחסון מניעתי נגד RSV (נגיף נשימתי סינציאלי) עונתי.

##### הרינו. הגה ופוריות

אין מידע על שימוש בתכשיר בנשים הרות. אין מידע על שימוש בנשים מניקות ועל הימצאות התכשיר בחלב אם, ומה השפעתו על התינוק. לא נערכו מחקרים להעריך השפעת התכשיר על פוריות המטופל.

##### מידע חשוב על חלק מהמרכיבים של התרופה

זולג'נסמה מכילה נתרן (Sodium) בכמות של 4.6 מ"ג נתרן בכל מ"ל של התרופה. כמות זו היא 0.23% מהכמות המקסימלית המומלצת למבוגר, שהיא 2 גרם נתרן, על פי ארגון הבריאות העולמי (WHO)). כל בקבוקון של 5.5 מ"ל מכיל 25.3 מ"ג נתרן, וכל בקבוקון של 8.3 מ"ל מכיל 38.2 מ"ג נתרן.

### 3. כיצד תשתמש בתרופה?

יש להשתמש בתרופה תמיד בהתאם להוראות הרופא. המינון ומשטר הטיפול ייקבעו על ידי הרופא בלבד. זולג'נסמה תורק לילדך ע"י רופא או אחות המנוסים בטיפול במצבו הרפואי של ילדך. הכמות של זולג'נסמה שילדך יקבל תחושב על ידי הרופא של ילדך לפי משקלו של ילדך. המנה מחושבת ביחידות הנקראות genomes vector. המינון המקובל הוא:  $10^{14} \times 1.1$  genomes vector לכל קילוגרם משקל גוף. המנה תינתן בהזרקה תוך-ורידית בעירווי חד-פעמי שיימשך כשעה אחת. אין לעבור על המנה המומלצת. אם יש לך שאלות נוספות בנוגע לשימוש בתרופה, היוועץ ברופא או ברוקת.

### 4. תופעות לוואי

כמו בכל תרופה, השימוש בזולג'נסמה עלול לגרום לתופעות לוואי בחלק מהמשתמשים. אל תיבהל למקרא רשימת תופעות הלוואי. ייתכן וילדך לא יסבול מאף אחת מהן. תופעות לוואי שכיחות (common) - המופיעות ב-10-1 משתמשים מתוך 100: עלייה באנזימי כבד והקאות.

#### תופעות לוואי שדווחו לאחר שיווק (שכיחות אינה ידועה)

כשל כבדי, פגיעה כבדית חמורה, חום, עלייה ברמת החלבון טרופונין, תרומבוציטופניה (רמה נמוכה של תסיות), מיקרואנגיופטיה טרומבוצית. אם הופיעה תופעת לוואי, אם אחת מתופעות הלוואי מחמירה או כאשר אתה סובל מתופעות לוואי שלא צוינו בעלון, עליך להתייעץ עם הרופא.

#### דיווח על תופעות לוואי

ניתן לדווח על תופעות לוואי למשרד הבריאות באמצעות לחיצה על הקישור "דיווח על תופעות לוואי עקב טיפול תרופתי" שנמצא בדף הבית של אתר משרד הבריאות ([il.gov.health](http://il.gov.health)). המפנה לטופס המקוון לדיווח על תופעות לוואי, או על ידי כניסה לקישור: [/il.gov.health.sideeffects://:https](https://il.gov.health.sideeffects/)

### 5. איך לאחסן את התרופה?

מנע הרעלה! תרופה זו וכל תרופה אחרת יש לשמור במקום סגור מחוץ להישג ידם וטווח ראייתם של ילדים ו/או תינוקות ועל ידי כך תמנע הרעלה. אל תגרום להקאה ללא הוראה מפורשת מהרופא.

תנאי אחסון: משלוח התרופה מגיע קפוא. מיד עם קבלת התרופה מהמשווק יש לאחסן אותה במקרר, בטמפרטורה -

$2^{\circ}\text{C}-8^{\circ}\text{C}$ . זולג'נסמה יציבה למשך 14 ימים כאשר היא מאוחסנת במקרר. אין להקפיא את התרופה מחדש. יש להשתמש תוך 14 ימים ממועד קבלת משלוח התרופה. אין לנער. יש לאחסן באריזה המקורית עד השימוש.

### 6. מידע נוסף

נוסף על החומר הפעיל, התרופה מכילה גם:

Water for Injection ,Sodium Chloride ,Tromethamine ,Magnesium Chloride ,Poloxamer ,188 Hydrochloric Acid.

כיצד נראית התרופה ומה תוכן האריזה: התרופה כוללת קיט המכיל 9-2 בקבוקונים.

שם בעל הרישום וכתובתו: תרומד בע"מ, רח' בני גאון 10, פארק תעשיות פולג, ת.ד. 8105, א.ת. דרום נתניה, ישראל

שם היצרן וכתובתו: נוברטיס גן תרפי, ליברטויל, אלינוי 60048, ארצות הברית

מספר הרישום של התרופה בפנקס התרופות הממלכתי במשרד הבריאות: 165-75-36125

נערך בנובמבר 2021 בהתאם להנחיות משרד הבריאות.

לשם הפשטות ולהקלת הקריאה, עלון זה נוסח בלשון זכר. על אף זאת התרופה מיועדת לבני שני המינים.