

B. FOGLIO ILLUSTRATIVO

Agenzia Italiana del Farmaco

Foglio illustrativo: informazioni per l'utilizzatore

Zolgensma 2×10^{13} genomi vettoriali/mL soluzione per infusione onasemnogene abeparvovec

▼ Medicinale sottoposto a monitoraggio addizionale. Ciò permetterà la rapida identificazione di nuove informazioni sulla sicurezza. Lei può contribuire segnalando qualsiasi effetto indesiderato riscontrato da suo figlio durante l'assunzione di questo medicinale. Vedere la fine del paragrafo 4 per le informazioni su come segnalare gli effetti indesiderati.

Legga attentamente questo foglio prima che questo medicinale sia somministrato a suo figlio perché contiene importanti informazioni.

- Conservi questo foglio. Potrebbe aver bisogno di leggerlo di nuovo.
- Se ha qualsiasi dubbio, si rivolga al medico o all'infermiere di suo figlio.
- Se suo figlio manifesta un qualsiasi effetto indesiderato, compresi quelli non elencati in questo foglio, si rivolga al medico o all'infermiere di suo figlio. Vedere paragrafo 4.

Contenuto di questo foglio

1. Cos'è Zolgensma e a cosa serve
2. Cosa deve sapere prima che Zolgensma sia somministrato a suo figlio
3. Come viene somministrato Zolgensma
4. Possibili effetti indesiderati
5. Come conservare Zolgensma
6. Contenuto della confezione e altre informazioni

1. Cos'è Zolgensma e a cosa serve

Cos'è Zolgensma

Zolgensma è un tipo di medicinale chiamato "terapia genica". Contiene il principio attivo onasemnogene abeparvovec che contiene materiale genetico umano.

A cosa serve Zolgensma

Zolgensma si usa per trattare l'"atrofia muscolare spinale" (SMA), una rara, grave malattia ereditaria.

Come agisce Zolgensma

La SMA si verifica quando risulta mancante o anormale la versione di un gene necessario per produrre una proteina essenziale nota come proteina di "sopravvivenza dei motoneuroni" (SMN). La mancanza di proteina SMN provoca la morte dei nervi che controllano i muscoli (motoneuroni). Ciò causa indebolimento e deperimento muscolare, con conseguente perdita di movimento.

Il medicinale agisce fornendo una copia perfettamente funzionante del gene SMN che successivamente aiuta l'organismo a produrre una quantità sufficiente di proteina SMN. Il gene viene trasportato nelle cellule dove la sua presenza è necessaria, usando un virus modificato che non causa malattie nell'uomo.

2. Cosa deve sapere prima che Zolgensma sia somministrato a suo figlio

NON usi Zolgensma

- se suo figlio è allergico a onasemnogene abeparvovec o ad uno qualsiasi degli altri componenti di questo medicinale (elencati al paragrafo 6).

Avvertenze e precauzioni

Il medico di suo figlio controllerà l'eventuale presenza di anticorpi prima del trattamento, che aiuteranno a decidere se questo medicinale sia adatto a lui.

Problemi al fegato

Parli con il medico o l'infermiere di suo figlio prima che gli venga somministrato questo medicinale, se suo figlio ha avuto problemi al fegato. Questo medicinale può determinare un aumento degli enzimi (proteine che troviamo all'interno del corpo) prodotti dal fegato o danno al fegato. Dopo che suo figlio avrà ricevuto questo medicinale sarà necessario che lei monitori eventuali segni che includono vomito, ittero (ingiallimento della pelle o del bianco degli occhi), o vigilanza ridotta (vedere paragrafo 4 per maggiori informazioni).

Suo figlio effettuerà esami del sangue per controllare se il fegato funziona bene prima di iniziare il trattamento con Zolgensma. Suo figlio effettuerà inoltre esami del sangue regolari per almeno 3 mesi dopo il trattamento per monitorare eventuali aumenti degli enzimi epatici.

Infezione

Un'infezione (per esempio, raffreddore, influenza o bronchiolite) prima o dopo il trattamento con Zolgensma, può portare a complicanze più serie. Deve prestare attenzione a segni di un'infezione come tosse, respiro sibilante, starnuti, naso gocciolante, mal di gola o febbre. Informi immediatamente il medico di suo figlio se nota che suo figlio sviluppa uno qualsiasi di questi sintomi.

Esami del sangue regolari

Questo medicinale può abbassare la conta delle piastrine nel sangue (trombocitopenia). Deve prestare attenzione a possibili segni di una bassa conta piastrinica cui deve prestare attenzione dopo che a suo figlio viene somministrato Zolgensma come lividi o sanguinamento anomali (per maggiori informazioni vedere paragrafo 4). La maggior parte dei casi segnalati di conta piastrinica bassa si è verificata entro le prime due settimane dopo la somministrazione di Zolgensma al bambino.

Zolgensma può aumentare i livelli di una proteina del cuore chiamata troponina I che può indicare un danno al cuore. Deve prestare attenzione a possibili segni di problemi al cuore dopo che a suo figlio viene somministrato questo medicinale, come colorazione grigio chiaro o blu della pelle, difficoltà di respirazione, gonfiore delle braccia o delle gambe o della pancia (per maggiori informazioni vedere paragrafo 4).

Prima di iniziare il trattamento con Zolgensma, suo figlio effettuerà esami del sangue per controllare la quantità delle cellule del sangue (compresi globuli rossi e piastrine), nonché il livello di troponina I nel corpo. Suo figlio effettuerà anche un esame del sangue per controllare il livello della creatinina, che è un indicatore di come stanno lavorando i reni. Effettuerà anche regolari esami del sangue per un certo periodo di tempo dopo il trattamento per monitorare eventuali variazioni nei livelli delle piastrine e della troponina I.

Coagulazione anormale del sangue nei piccoli vasi sanguigni (microangiopatia trombotica)

Sono stati segnalati casi di pazienti che sviluppano microangiopatia trombotica circa una settimana dopo il trattamento con Zolgensma. La microangiopatia trombotica è accompagnata da una diminuzione dei globuli rossi e delle cellule coinvolte nella coagulazione (piastrine). Questi coaguli di sangue potrebbero danneggiare i reni di suo figlio. Il medico di suo figlio potrebbe voler effettuare esami del sangue di suo figlio (conta piastrinica) e controllare la pressione sanguigna. I possibili segni ai quali è necessario prestare attenzione dopo che è stato somministrato Zolgensma a suo figlio includono facilità a manifestare lividi, crisi convulsive (attacchi) o diminuzione della produzione di urina (vedere paragrafo 4 per ulteriori informazioni). Chieda assistenza medica urgente se suo figlio sviluppa uno qualsiasi di questi segni.

Donazione di sangue, organi, tessuti e cellule

Dopo che suo figlio verrà trattato con Zolgensma non sarà più possibile donare sangue, organi, tessuti o cellule per il trapianto. Questo perché Zolgensma è un prodotto di terapia genica.

Altri medicinali e Zolgensma

Informi il medico o l'infermiere di suo figlio se suo figlio sta assumendo, ha recentemente assunto o potrebbe assumere qualsiasi altro medicinale.

Prednisolone

Nel trattamento con Zolgensma, suo figlio riceverà per circa 2 mesi o più anche un medicinale corticosteroide come il prednisolone (vedere anche paragrafo 3). Il medicinale corticosteroide aiuterà a gestire ogni aumento degli enzimi epatici che suo figlio potrebbe manifestare dopo aver ricevuto Zolgensma.

Vaccinazioni

Poiché i corticosteroidi possono avere un effetto sul sistema immunitario (di difesa) dell'organismo, **il medico di suo figlio potrà decidere di posticipare alcune vaccinazioni** nel periodo in cui suo figlio riceve un trattamento con corticosteroidi. Se ha qualsiasi dubbio, si rivolga al medico o all'infermiere di suo figlio.

Zolgensma contiene sodio

Questo medicinale contiene meno di 1 mmol (23 mg) di sodio per mL, equivalente allo 0,23% dell'assunzione massima giornaliera raccomandata dall'OMS che corrisponde a 2 g di sodio. Ogni flaconcino da 5,5 mL contiene 25,3 mg di sodio e ogni flaconcino da 8,3 mL contiene 38,2 mg di sodio.

Ulteriori informazioni per i genitori/assistenti

SMA avanzata

Zolgensma può salvare i motoneuroni vitali ma non salva quelli morti. I bambini con sintomi di SMA meno gravi (come assenza di riflessi o tono muscolare ridotto) potrebbero avere sufficienti motoneuroni vitali per avere un beneficio significativo dal trattamento con Zolgensma. Zolgensma potrebbe non essere altrettanto efficace in bambini con grave debolezza muscolare o paralisi, con problemi respiratori o non in grado di deglutire, o in bambini con malformazioni significative (come difetti cardiaci), inclusi i pazienti con SMA tipo 0, poiché ci può essere un miglioramento potenziale limitato derivante dal trattamento con Zolgensma. Il medico di suo figlio deciderà se somministrare questo medicinale a suo figlio.

Precauzioni igieniche

Il principio attivo contenuto in Zolgensma potrebbe essere escreto in via temporanea con i rifiuti corporei di suo figlio; questo è chiamato “disseminazione”. I genitori e gli assistenti devono osservare una buona igiene delle mani per un periodo fino a 1 mese dopo che il bambino riceve Zolgensma. Indossi guanti protettivi quando entra in contatto diretto con i fluidi o rifiuti corporei di suo figlio e successivamente si lavi accuratamente le mani con sapone e acqua calda corrente o usi un detergente a base di alcol. Usi un doppio sacchetto per lo smaltimento dei pannolini sporchi e di altri rifiuti. I pannolini usa-e-getta potranno essere smaltiti nei rifiuti domestici.

Dovrà continuare a seguire queste istruzioni per almeno 1 mese dopo che suo figlio sarà stato trattato con Zolgensma. Se ha qualsiasi dubbio, si rivolga al medico o all’infermiere di suo figlio.

3. Come viene somministrato Zolgensma

Zolgensma sarà somministrato da un medico o un infermiere addestrato a gestire la malattia.

Il medico deciderà la quantità di Zolgensma che suo figlio riceverà in base al peso del bambino. Zolgensma viene somministrato mediante singola infusione (flebo) endovenosa (in vena) per più di 1 ora circa.

Zolgensma sarà somministrato a suo figlio solo UNA VOLTA.

Suo figlio riceverà anche prednisolone (o un altro corticosteroide) per via orale, a partire da 24 ore prima della somministrazione di Zolgensma. Anche la dose di corticosteroide dipenderà dal suo peso. Il medico di suo figlio stabilirà la dose totale da somministrare.

Suo figlio riceverà il trattamento corticosteroide ogni giorno per circa 2 mesi dopo la dose di Zolgensma, o fino a quando gli enzimi epatici diminuiranno a un livello accettabile. Il medico ridurrà lentamente la dose di corticosteroide fino a che sarà possibile interrompere completamente la somministrazione.

Se ha qualsiasi dubbio, si rivolga al medico o all’infermiere di suo figlio.

4. Possibili effetti indesiderati

Come tutti i medicinali, questo medicinale può causare effetti indesiderati sebbene non tutte le persone li manifestino.

Chieda assistenza medica urgente se suo figlio sviluppa uno qualsiasi dei seguenti effetti indesiderati gravi:

Comuni (possono interessare fino a 1 persona su 10)

- lividi o sanguinamento di durata più lunga del solito, se suo figlio si è fatto male - potrebbero essere segni di una bassa conta piastrinica;
- colorazione grigio chiaro o blu della pelle, difficoltà di respirazione (per esempio, respirazione rapida, respiro corto), gonfiore delle braccia e delle gambe o della pancia - potrebbero essere segni di possibili problemi cardiaci.

Frequenza non nota (la frequenza non può essere stimata sulla base dei dati disponibili)

- vomito, ittero (ingiallimento della pelle o del bianco degli occhi) o vigilanza ridotta - questi possono essere segni di danno al fegato;
- facilità a manifestare lividi, crisi convulsive (attacchi), diminuzione della produzione di urina – questi possono essere segni di microangiopatia trombotica.

Se suo figlio sviluppa qualunque altro effetto indesiderato, si rivolga al suo medico o infermiere. Tali effetti indesiderati possono includere:

Molto comuni (possono interessare più di 1 persona su 10):

- aumenti degli enzimi del fegato osservati agli esami del sangue.

Comuni (possono interessare fino a 1 persona su 10):

- vomito;
- febbre.

Segnalazione degli effetti indesiderati

Se suo figlio manifesta un qualsiasi effetto indesiderato, compresi quelli non elencati in questo foglio, si rivolga al medico o all'infermiere di suo figlio. Può inoltre segnalare gli effetti indesiderati direttamente tramite il sistema nazionale di segnalazione riportato nell'allegato V. Segnalando gli effetti indesiderati può contribuire a fornire maggiori informazioni sulla sicurezza di questo medicinale.

5. Come conservare Zolgensma

Tenere questo medicinale fuori dalla vista e dalla portata dei bambini.

Le seguenti informazioni sono per gli operatori sanitari che prepareranno e somministreranno il medicinale.

Non usi questo medicinale dopo la data di scadenza che è riportata sull'etichetta del flaconcino e sulla scatola dopo "Scad/EXP". La data di scadenza si riferisce all'ultimo giorno di quel mese.

I flaconcini saranno trasportati in congelatore (a temperatura uguale o inferiore a -60 °C).

Al ricevimento, i flaconcini devono essere riposti immediatamente in frigorifero alla temperatura di 2 °C – 8 °C, e tenuti nella scatola originale. La terapia con Zolgensma deve essere iniziata entro 14 giorni dal ricevimento dei flaconcini.

Questo medicinale contiene organismi geneticamente modificati. Il medicinale non utilizzato o i rifiuti devono essere smaltiti conformemente alle linee guida locali sulla gestione dei rifiuti biologici. Poiché questo medicinale verrà somministrato da un medico, il medico è responsabile del corretto smaltimento del prodotto. Questo aiuterà a proteggere l'ambiente.

6. Contenuto della confezione e altre informazioni

Cosa contiene Zolgensma

- * Il principio attivo è onasemnogene abeparvovec. Ogni flaconcino contiene onasemnogene abeparvovec con una concentrazione nominale di 2×10^{13} genomi vettoriali/mL.
- * Gli altri componenti sono trometamina, cloruro di magnesio, cloruro di sodio, poloxamer 188, acido cloridrico (per la regolazione del pH) e acqua per preparazioni iniettabili.

Descrizione dell'aspetto di Zolgensma e contenuto della confezione

Zolgensma è una soluzione per infusione da trasparente a leggermente opaca, da incolore a bianco pallido.

Zolgensma potrà essere fornito in flaconcini con volume di riempimento nominale di 5,5 mL o 8,3 mL. Ogni flaconcino è solo monouso.

Ogni scatola conterrà da 2 a 14 flaconcini.

Titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio

Novartis Europharm Limited
Vista Building
Elm Park, Merrion Road
Dublin 4
Irlanda

Produttore

Almac Pharma Services Limited
Finnabair Industrial Estate
Dundalk, Co. Louth
A91 P9KD
Irlanda

Per ulteriori informazioni su questo medicinale, contatti il rappresentante locale del titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio:

België/Belgique/Belgien

Novartis Pharma N.V.
Tél/Tel: +32 2 246 16 11

България

Novartis Bulgaria EOOD
Тел: +359 2 489 98 28

Česká republika

Novartis s.r.o.
Tel: +420 225 775 111

Danmark

Novartis Healthcare A/S
Tlf: +45 39 16 84 00

Deutschland

Novartis Pharma GmbH
Tel: +49 911 273 0

Lietuva

SIA Novartis Baltics Lietuvos filialas
Tel: +370 5 269 16 50

Luxembourg/Luxemburg

Novartis Pharma N.V.
Tél/Tel: +32 2 246 16 11

Magyarország

Novartis Hungária Kft.
Tel.: +36 1 457 65 00

Malta

Novartis Pharma Services Inc.
Tel: +356 2122 2872

Nederland

Novartis Pharma B.V.
Tel: +31 88 04 52 111

Eesti

SIA Novartis Baltics Eesti filiaal
Tel: +372 66 30 810

Ελλάδα

Novartis (Hellas) A.E.B.E.
Τηλ: +30 210 281 17 12

España

Novartis Farmacéutica, S.A.
Tel: +34 93 306 42 00

France

Novartis Pharma S.A.S.
Tél: +33 1 55 47 66 00

Hrvatska

Novartis Hrvatska d.o.o.
Tel. +385 1 6274 220

Ireland

Novartis Ireland Limited
Tel: +353 1 260 12 55

Ísland

Vistor hf.
Sími: +354 535 7000

Italia

Novartis Farma S.p.A.
Tel: +39 02 96 54 1

Κύπρος

Novartis Pharma Services Inc.
Τηλ: +357 22 690 690

Latvija

SIA Novartis Baltics
Tel: +371 67 887 070

Norge

Novartis Norge AS
Tlf: +47 23 05 20 00

Österreich

Novartis Pharma GmbH
Tel: +43 1 86 6570

Polska

Novartis Poland Sp. z o.o.
Tel.: +48 22 375 4888

Portugal

Novartis Farma - Produtos Farmacêuticos, S.A.
Tel: +351 21 000 8600

România

Novartis Pharma Services Romania SRL
Tel: +40 21 31299 01

Slovenija

Novartis Pharma Services Inc.
Tel: +386 1 300 75 50

Slovenská republika

Novartis Slovakia s.r.o.
Tel: +421 2 5542 5439

Suomi/Finland

Novartis Finland Oy
Puh/Tel: +358 (0)10 6133 200

Sverige

Novartis Sverige AB
Tel: +46 8 732 32 00

United Kingdom (Northern Ireland)

Novartis Ireland Limited
Tel: +44 1276 698370

Questo foglio illustrativo è stato aggiornato il

Altre fonti d'informazioni

Informazioni più dettagliate su questo medicinale sono disponibili sul sito web dell'Agenzia europea dei medicinali, <http://www.ema.europa.eu>. Inoltre, sono riportati link ad altri siti web su malattie rare e relativi trattamenti terapeutici.

Le informazioni seguenti sono destinate esclusivamente agli operatori sanitari:

Importante: prima di usare il medicinale, consultare il Riassunto delle caratteristiche del prodotto (RCP).

Ogni flaconcino è solo monouso.

Questo medicinale contiene organismi geneticamente modificati. Osservare le linee guida locali per la gestione dei rifiuti biologici.

Manipolazione

- Zolgensma deve essere manipolato in asepsi in condizioni sterili.
- Durante la manipolazione o la somministrazione di Zolgensma si devono indossare dispositivi di protezione individuale (inclusi guanti, occhiali di sicurezza, camice da laboratorio con maniche). Il personale con tagli o graffi alla cute non deve lavorare con Zolgensma.
- Raccogliere tutte le fuoriuscite di Zolgensma con garza assorbente e disinfettare l'area con una soluzione a base di candeggina, seguita da batuffoli imbevuti d'alcol. Tutti i materiali utilizzati per ripulire devono essere riposti in doppia busta e smaltiti in conformità con le linee guida locali per la gestione dei rifiuti biologici.
- Tutti i materiali entrati potenzialmente a contatto con Zolgensma (ad esempio, flaconcino, tutti i materiali utilizzati per l'iniezione, inclusi telini sterili e aghi) devono essere smaltiti in conformità con le linee guida locali per la gestione dei rifiuti biologici.

Esposizione accidentale

Evitare l'esposizione accidentale a Zolgensma.

In caso di esposizione cutanea accidentale, l'area interessata deve essere pulita accuratamente con acqua e sapone per almeno 15 minuti. In caso di esposizione accidentale nella zona degli occhi, l'area interessata deve essere sciacquata accuratamente con acqua per almeno 15 minuti.

Conservazione

I flaconcini saranno trasportati in congelatore (a temperatura pari o inferiore a -60 °C). Al ricevimento, i flaconcini devono essere riposti immediatamente in frigorifero alla temperatura di 2 °C – 8 °C, e tenuti nella scatola originale. La terapia con Zolgensma deve essere iniziata entro 14 giorni dal ricevimento dei flaconcini. La data di ricevimento deve essere annotata sulla scatola originale prima di conservare il prodotto in frigorifero.

Preparazione

I flaconcini devono essere scongelati prima dell'uso:

- per le confezioni contenenti fino a 9 flaconcini - scongelare per circa 12 ore in frigorifero (2-8 °C) o per 4 ore a temperatura ambiente (20-25 °C);
- per le confezioni contenenti fino a 14 flaconcini - scongelare per circa 16 ore in frigorifero (2-8 °C) o per 6 ore a temperatura ambiente (20-25 °C).

Non usare Zolgensma a meno che non sia stato scongelato.

Una volta scongelato, il medicinale non deve essere ri-congelato.

Una volta scongelato, ruotare delicatamente Zolgensma. NON agitare.

Non usare questo medicinale se si nota la presenza di particelle o di alterazioni di colore dopo lo scongelamento del prodotto congelato e prima della somministrazione.

Dopo lo scongelamento, Zolgensma deve essere somministrato quanto prima.

Somministrazione

Zolgensma deve essere somministrato solo UNA VOLTA ai pazienti.

La dose di Zolgensma e il numero esatto di flaconcini necessari per ciascun paziente vengono calcolati in base al peso del paziente (vedere RCP, paragrafi 4.2 e 6.5).

Per somministrare Zolgensma, aspirare nella siringa l'intero volume della dose. Dopo aver aspirato nella siringa il volume della dose, la somministrazione deve essere effettuata entro 8 ore. Eliminare l'eventuale aria presente nella siringa prima di somministrare al paziente l'infusione endovenosa attraverso un catetere venoso. Si raccomanda l'inserimento di un catetere secondario ("di riserva") nell'eventualità di un blocco del catetere primario.

Zolgensma deve essere somministrato con la pompa per siringa mediante singola infusione endovenosa lenta nell'arco di circa 60 minuti. Deve essere somministrato solo mediante infusione endovenosa. Non somministrare in bolo o mediante iniezione endovenosa rapida. Una volta completata l'infusione, la linea deve essere lavata con una soluzione iniettabile di cloruro di sodio 0,9 mg/mL (0,9%).

Smaltimento

Il medicinale non utilizzato e i rifiuti derivati da tale medicinale devono essere smaltiti in conformità con le linee guida locali per la gestione dei rifiuti biologici.

Può verificarsi disseminazione temporanea di Zolgensma, principalmente mediante rifiuti corporei. Occorre informare le persone che si prendono cura dei pazienti e i familiari dei pazienti in merito alle seguenti istruzioni per la corretta gestione dei fluidi e dei rifiuti dei pazienti:

- è necessaria una buona igiene delle mani (indossare guanti protettivi e successivamente lavarsi accuratamente le mani con sapone e acqua calda corrente o usare un detergente per mani contenente alcol), in caso di contatto diretto con i fluidi e i rifiuti corporei dei pazienti per almeno 1 mese dopo il trattamento con Zolgensma;
- i pannolini usa-e-getta devono essere sigillati in doppie buste di plastica e possono essere smaltiti nei rifiuti domestici.