

## **Bijsluiter: informatie voor de gebruiker**

### **Zolgensma<sup>®</sup> 2 × 10<sup>13</sup> vectorgenomen/ml oplossing voor infusie** onasemnogene abeparvovec

▼ Dit geneesmiddel is onderworpen aan aanvullende monitoring. Daardoor kan snel nieuwe veiligheidsinformatie worden vastgesteld. U kunt hieraan bijdragen door melding te maken van alle bijwerkingen die uw kind eventueel zou ervaren. Aan het einde van rubriek 4 leest u hoe u dat kunt doen.

#### **Lees goed de hele bijsluiter voordat uw kind dit geneesmiddel toegediend krijgt want er staat belangrijke informatie in.**

- Bewaar deze bijsluiter. Misschien heeft u hem later weer nodig.
- Heeft u nog vragen? Neem dan contact op met de arts of verpleegkundige van uw kind.
- Krijgt uw kind last van een van de bijwerkingen die in rubriek 4 staan? Of krijgt uw kind een bijwerking die niet in deze bijsluiter staat? Neem dan contact op met de arts of verpleegkundige van uw kind.

#### **Inhoud van deze bijsluiter**

1. Wat is Zolgensma en waarvoor wordt dit middel gebruikt?
2. Wanneer mag uw kind dit middel niet toegediend krijgen of moet u er extra voorzichtig mee zijn?
3. Hoe wordt dit middel toegediend?
4. Mogelijke bijwerkingen
5. Hoe bewaart u dit middel?
6. Inhoud van de verpakking en overige informatie

#### **1. Wat is Zolgensma en waarvoor wordt dit middel gebruikt?**

##### **Wat is Zolgensma?**

Zolgensma is een type geneesmiddel dat 'gentherapie' wordt genoemd. Het bevat de werkzame stof onasemnogene abeparvovec, die menselijk genetisch materiaal bevat.

##### **Waarvoor wordt dit middel gebruikt?**

Dit middel wordt gebruikt voor de behandeling 'spinale spieratrofie' (SMA), een zeldzame, ernstige erfelijke aandoening.

##### **Hoe werkt dit middel?**

SMA doet zich voor wanneer een gen dat noodzakelijk is voor de aanmaak van een onmisbaar eiwit, 'Survival Motor Neuron' (SMN) eiwit genaamd, ontbreekt of een afwijking heeft. Door een gebrek aan SMN-eiwit sterven zenuwen die de spieren controleren (motorische neuronen) af. Hierdoor worden de spieren zwak en takelen ze af, wat uiteindelijk tot een verlies van beweging leidt.

Dit geneesmiddel werkt door een volledig werkende kopie van het SMN-gen af te geven, die het lichaam vervolgens helpt bij de aanmaak van voldoende SMN-eiwit. Het gen wordt afgegeven in de cellen waar het nodig is met behulp van een aangepast virus dat geen ziektes veroorzaakt bij mensen.

#### **2. Wanneer mag uw kind dit middel niet toegediend krijgen of moet u er extra voorzichtig mee zijn?**

##### **Wanneer mag uw kind dit middel niet toegediend krijgen?**

- als uw kind allergisch is voor een van de stoffen in dit geneesmiddel. Deze stoffen kunt u vinden in rubriek 6.

### **Wanneer moet u extra voorzichtig zijn met dit middel?**

De arts van uw kind zal vóór de behandeling uw kind controleren op de aanwezigheid van antilichamen om te helpen beslissen of dit geneesmiddel geschikt is voor uw kind.

#### Leverproblemen

Neem contact op met de arts of verpleegkundige van uw kind voordat dit geneesmiddel toegediend wordt als uw kind leverproblemen heeft gehad. Dit geneesmiddel kan leiden tot een verhoging van enzymen (eiwitten aanwezig in het lichaam) die door de lever worden aangemaakt of tot schade aan de lever. Mogelijke klachten waarop u waakzaam moet zijn nadat uw kind dit geneesmiddel toegediend heeft gekregen omvatten overgeven, geelzucht (geel worden van de huid of het wit van de ogen) of verminderde alertheid (zie rubriek 4 voor meer informatie).

Voordat de behandeling met Zolgensma wordt gestart, wordt er een bloedonderzoek bij uw kind uitgevoerd om na te gaan hoe goed de lever werkt. Gedurende ten minste 3 maanden na de behandeling zullen ook regelmatig bloedonderzoeken bij uw kind worden uitgevoerd om verhogingen van leverenzymen te monitoren.

#### Infectie

Een infectie (bijv. verkoudheid, griep of bronchiolitis) vóór of na behandeling met Zolgensma kan leiden tot ernstigere verwickelingen. U moet letten op verschijnselen van een infectie zoals hoesten, piepende ademhaling, niezen, loopneus, keelpijn of koorts. Vertel het de arts van uw kind onmiddellijk als u merkt dat uw kind een van deze verschijnselen krijgt.

#### Regelmatige bloedonderzoeken

Dit geneesmiddel kan het aantal bloedplaatjes verlagen (trombocytopenie). U moet letten op verschijnselen van een laag aantal bloedplaatjes nadat uw kind Zolgensma heeft toegediend gekregen zoals ongewone blauwe plekken of bloedingen (zie rubriek 4 voor meer informatie).

Dit geneesmiddel kan concentraties van een eiwit dat specifiek is voor het hart verhogen, 'troponine I' genaamd. Dit kan wijzen op hartletsel. U moet letten op mogelijke verschijnselen van hartproblemen nadat uw kind dit geneesmiddel heeft toegediend gekregen zoals een bleke, grijze of blauwe verkleuring van de huid, ademhalingsproblemen, zwelling van de armen en benen of buik (zie rubriek 4 voor meer informatie).

Voordat de behandeling met Zolgensma wordt gestart, wordt er een bloedonderzoek bij uw kind uitgevoerd om het aantal bloedcellen (waaronder rode bloedcellen en bloedplaatjes) evenals het troponineI-gehalte in hun lichaam te controleren. Er wordt ook een bloedonderzoek gedaan om hun creatininegehalte te controleren, wat een indicator is van hoe de nieren werken. Gedurende een periode na de behandeling zullen ook regelmatig bloedonderzoeken bij uw kind worden uitgevoerd om veranderingen in het aantal bloedplaatjes en in het troponine I-gehalte te monitoren.

#### Abnormale bloedstolling in de kleine bloedvaten (trombotische microangiopathie)

Er zijn gevallen gemeld van patiënten die trombotische microangiopathie ontwikkelen ongeveer een week na de behandeling met Zolgensma. Trombotische microangiopathie gaat gepaard met een afname van rode bloedcellen en van cellen die betrokken zijn bij de stolling (bloedplaatjes). Deze bloedstolsels kunnen de nieren van uw kind aantasten. Mogelijk vindt de arts van uw kind het nodig om het bloed (de bloedplaatjes) en de bloeddruk van uw kind te controleren. Mogelijke verschijnselen waar u op moet letten nadat uw kind Zolgensma heeft gekregen, zijn onder meer blauwe plekken, aanvallen (stuipen) of een verminderde urineproductie (zie rubriek 4 voor meer informatie). Zoek dringend medische hulp als uw kind een van deze klachten ontwikkelt.

#### Bloed-, orgaan- en weefseldonatie

Nadat uw kind behandeld werd met Zolgensma, mag het geen bloed, organen, weefsels of cellen doneren. Dit is omdat Zolgensma een genetherapiegeneesmiddel is.

### **Gebruikt uw kind nog andere geneesmiddelen?**

Gebruikt uw kind naast Zolgensma nog andere geneesmiddelen, heeft hij/zij dat kort geleden gedaan of bestaat de mogelijkheid dat uw kind binnenkort andere geneesmiddelen gaat gebruiken? Neem dan contact op met de arts of verpleegkundige van uw kind.

#### Prednisolon

Uw kind krijgt gedurende ongeveer 2 maanden of langer ook een corticosteroid geneesmiddel zoals prednisolon toegediend (zie ook rubriek 3) als onderdeel van de behandeling met Zolgensma. Dit corticosteroid geneesmiddel helpt verhogingen van leverenzymen, die na de toediening van Zolgensma bij uw kind kunnen ontstaan, onder controle te houden.

#### Vaccinaties

Aangezien corticosteroiden het immuun(afweer)systeem van het lichaam kunnen aantasten, **kan de arts van uw kind beslissen om de toediening van bepaalde vaccinaties uit te stellen** zolang uw kind een behandeling met corticosteroiden krijgt. Neem contact op met de arts of verpleegkundige van uw kind als u nog vragen heeft.

### **Zolgensma bevat natrium**

Dit middel bevat 4,6 mg natrium per ml, overeenkomend met 0,23% van de door de Wereldgezondheidsorganisatie (WHO) aanbevolen maximale dagelijks inname van 2 g natrium voor een volwassene. Elke injectieflacon van 5,5 ml bevat 25,3 mg natrium, en elke injectieflacon van 8,3 ml bevat 38,2 natrium.

### **Aanvullende informatie voor ouders/verzorgers**

#### Gevorderde SMA

Zolgensma kan levende motorische neuronen redden, maar redt geen dode motorische neuronen. Kinderen met minder ernstige verschijnselen van SMA (zoals afwezige reflexen of verminderde spierspanning) kunnen voldoende levende motorische neuronen hebben om aanzienlijk baat te hebben bij de behandeling met Zolgensma. Mogelijk werkt Zolgensma niet even goed bij kinderen met ernstige spierzwakte of paralyse (verlamming), ademhalingsproblemen of die niet in staat zijn om te slikken, of bij kinderen met een ernstige afwijking (zoals hartdefecten), waaronder patiënten met SMA Type 0, aangezien er beperkte potentiële verbetering na behandeling met Zolgensma kan zijn. De arts van uw kind zal beslissen of uw kind dit geneesmiddel moet krijgen.

#### Hygiënische zorg

De werkzame stof in Zolgensma kan tijdelijk worden uitgescheiden via afvalproducten van het lichaam van uw kind; dit heet "uitscheiding". Ouders en verzorgers moeten een goede handhygiëne volgen gedurende maximaal 1 maand nadat uw kind Zolgensma heeft gekregen. Draag beschermende handschoenen wanneer u direct in contact komt met lichaamsvocht of lichaamsafval van uw kind en was uw handen nadien zorgvuldig met zeep en warm stromend water, of een handreiniger op basis van alcohol. Er moeten dubbele zakken worden gebruikt om vuile luiers en ander afval te verwijderen. Wegwerpluiers kunnen wel nog met het huishoudelijk afval worden verwijderd.

U moet deze aanwijzingen blijven opvolgen gedurende ten minste 1 maand na de behandeling van uw kind met Zolgensma. Neem contact op met de arts of verpleegkundige van uw kind als u nog vragen heeft.

### **3. Hoe wordt dit middel toegediend?**

Dit middel wordt toegediend door een arts of verpleegkundige die is opgeleid in het behandelen van de aandoening die uw kind heeft.

De arts van uw kind berekent hoeveel van dit middel uw kind toegediend krijgt op basis van zijn/haar gewicht. Zolgensma zal intraveneus (in een ader) worden toegediend via één infusie (druppelinfusie) gedurende ongeveer 1 uur.

## **Dit middel wordt slechts ÉÉN KEER aan uw kind gegeven.**

Vanaf vierentwintig uur vóór toediening van Zolgensma krijgt uw kind ook prednisolon (of een ander corticosteroid) via de mond toegediend. De dosis corticosteroid hangt ook af van het gewicht van uw kind. De arts van uw kind berekent de totale dosis die moet toegediend worden.

Uw kind krijgt dagelijks een corticosteroidenbehandeling toegediend gedurende ongeveer 2 maanden na toediening van de dosis Zolgensma, of totdat de leverenzymen van uw kind tot een aanvaardbaar niveau zijn gedaald. De arts zal geleidelijk de dosis corticosteroid verlagen totdat de behandeling volledig kan worden stopgezet.

Heeft u nog andere vragen? Neem dan contact op met de arts of verpleegkundige van uw kind.

## **4. Mogelijke bijwerkingen**

Zoals elk geneesmiddel kan ook dit geneesmiddel bijwerkingen hebben, al krijgt niet iedereen daarmee te maken.

**Zoek dringend medische hulp** als uw kind een van de volgende ernstige bijwerkingen krijgt:

**Vaak** (kunnen voorkomen bij minder dan 1 op de 10 gebruikers)

- blauwe plekken of bloedingen die langer dan normaal duren wanneer uw kind zich heeft bezeerd – dit kunnen verschijnselen van een laag aantal bloedplaatjes zijn;
- bleke grijze of blauwe verkleuring van de huid, ademhalingsproblemen (bijv. snelle ademhaling, kortademigheid), zwelling van de armen en de benen of buik – dit kunnen verschijnselen van mogelijke problemen met het hart zijn.

**Niet bekend** (de frequentie kan met de beschikbare gegevens niet worden bepaald)

- overgeven, geelzucht (geel worden van de huid of het wit van de ogen) of verminderde alertheid – dit kunnen klachten zijn van schade aan de lever.
- gemakkelijk optreden van blauwe plekken, aanvallen (stuipen), een verminderde urineproductie – dit kunnen klachten zijn die wijzen op trombotische microangiopathie.

Neem contact op met de arts of verpleegkundige van uw kind als uw kind andere bijwerkingen krijgt, zoals:

**Zeer vaak** (kunnen voorkomen bij meer dan 1 op de 10 gebruikers):

- verhogingen van leverenzymen, aangetoond in bloedonderzoek.

**Vaak** (kunnen voorkomen bij minder dan 1 op de 10 gebruikers):

- braken;
- koorts.

## **Het melden van bijwerkingen**

Krijgt uw kind last van bijwerkingen, neem dan contact op met de arts of verpleegkundige van uw kind. Dit geldt ook voor mogelijke bijwerkingen die niet in deze bijsluiting staan. U kunt bijwerkingen ook rechtstreeks melden (zie details hieronder). Door bijwerkingen te melden, kunt u ons helpen meer informatie te verkrijgen over de veiligheid van dit geneesmiddel.

### **Nederland:**

Nederlands Bijwerkingen Centrum Lareb  
Website: [www.lareb.nl](http://www.lareb.nl)

### **België:**

Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten

Afdeling Vigilantie

Galileelaan 5/ 03 1210 BRUSSEL	Postbus 97 B-1000 BRUSSEL Madou
-----------------------------------	---------------------------------------

Website: [www.eenbijwerkingmelden.be](http://www.eenbijwerkingmelden.be)

e-mail: [adr@fagg.be](mailto:adr@fagg.be)

## 5. Hoe bewaart u dit middel?

Buiten het zicht en bereik van kinderen houden.

De informatie hierna is voor beroepsbeoefenaren in de gezondheidszorg die het geneesmiddel zullen klaarmaken voor gebruik en toedienen.

Gebruik dit geneesmiddel niet meer na de uiterste houdbaarheidsdatum. Die vindt u op het etiket op de injectieflacon en op de doos na 'EXP'. Daar staat een maand en een jaar. De laatste dag van die maand is de uiterste houdbaarheidsdatum.

De injectieflacons worden bevroren getransporteerd (bij of beneden -60°C).

Na ontvangst moeten de injectieflacons onmiddellijk in de koelkast worden bewaard bij 2°C tot 8°C in de oorspronkelijke doos. De behandeling met Zolgensma moet binnen 14 dagen na ontvangst van de injectieflacons worden opgestart.

Dit geneesmiddel bevat genetisch gemodificeerde organismen. Ongebruikt geneesmiddel of afvalmateriaal moet worden afgevoerd in overeenstemming met de plaatselijke richtlijnen voor het omgaan met biologisch afval. Aangezien dit geneesmiddel door een arts zal worden toegediend, is de arts verantwoordelijk voor de correcte verwijdering van het product. Deze maatregelen zullen helpen het milieu te beschermen.

## 6. Inhoud van de verpakking en overige informatie

### Welke stoffen zitten er in dit middel?

- De werkzame stof in dit middel is onasemnogene abeparvovec. Elke injectieflacon bevat onasemnogene abeparvovec in een nominale concentratie van  $2 \times 10^{13}$  vectorgenomen/ml.
- De andere stoffen in dit middel zijn tromethamine, magnesiumchloride, natriumchloride, poloxameer 188, zoutzuur (voor aanpassing van de pH) en water voor injecties.

### Hoe ziet Zolgensma eruit en hoeveel zit er in een verpakking?

Zolgensma is een heldere tot licht ondoorzichtige, kleurloze tot witachtige oplossing voor infusie.

Zolgensma kan afgeleverd worden in injectieflacons met een nominaal vulvolume van 5,5 ml of 8,3 ml. Elke injectieflacon is uitsluitend voor éénmalig gebruik.

Elke doos bevat tussen 2 en 14 injectieflacons.

### Houder van de vergunning voor het in de handel brengen

Novartis Gene Therapies EU Limited

Block B, The Crescent Building

Northwood, Santry

Dublin 9

D09 C6X8

Ierland

Tel: +353 (1) 566-2364

**Fabrikant**

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

Neem voor alle informatie over dit geneesmiddel contact op met de houder van de vergunning voor het in de handel brengen.

**Deze bijsluiter is voor het laatste goedgekeurd in 05/2021**

Dit geneesmiddel is voorwaardelijk toegelaten. Dit betekent dat er in de toekomst meer definitieve gegevens worden verwacht over dit geneesmiddel. Het Europees Geneesmiddelenbureau zal ieder jaar nieuwe informatie over het geneesmiddel beoordelen. Als dat nodig is, zal deze bijsluiter worden aangepast.

**Andere informatiebronnen**

Meer informatie over dit geneesmiddel is beschikbaar op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: <http://www.ema.europa.eu>. Hier vindt u ook verwijzingen naar andere websites over zeldzame ziektes en hun behandelingen.

---

**De volgende informatie is alleen bestemd voor beroepsbeoefenaren in de gezondheidszorg:**

Belangrijk: Raadpleeg vóór gebruik de Samenvatting van de productkenmerken (SPC).

Elke injectieflacon is uitsluitend voor éénmalig gebruik.

Dit geneesmiddel bevat genetisch gemodificeerde organismen. Lokale richtlijnen voor de hantering van biologisch afval dienen te worden nageleefd.

Verwerking

- Zolgensma moet aseptisch worden gehanteerd onder steriele omstandigheden.
- Tijdens de hantering en de toediening van Zolgensma moet persoonlijke beschermende uitrusting (met name handschoenen, veiligheidsbril, laboratoriumjas en armbeschermers) worden gedragen. Zolgensma mag niet worden gehanteerd door personeel met een snijwond of opengekrabde huid.
- Als er Zolgensma wordt gemorst, moet dit worden weggeveegd met een absorberend gaasje en moet het gebied waar is gemorst ontsmet worden met een bleekmiddeloplossing en vervolgens met alcoholdoekjes. Al het schoonmaakmateriaal moet in een dubbele zak geplaatst en vernietigd worden overeenkomstig lokale voorschriften voor het hanteren van biologisch afval.
- Al het materiaal dat mogelijk in contact is gekomen met Zolgensma (bijv. de injectieflacon, al het materiaal dat gebruikt werd voor de injectie, waaronder steriel afdek materiaal en naalden) moet worden vernietigd overeenkomstig lokale voorschriften voor het hanteren van biologisch afval.

Accidentele blootstelling

Accidentele blootstelling aan Zolgensma moet worden vermeden.

In geval van accidentele blootstelling van de huid moet het aangetaste gebied gedurende ten minste 15 minuten grondig worden gereinigd met water en zeep. In geval van accidentele blootstelling van de ogen moet het aangetaste gebied gedurende ten minste 15 minuten grondig worden gespoeld met water.

### Bewaring

De injectieflacons worden bevroren getransporteerd (bij of beneden -60 °C). Na ontvangst moeten de injectieflacons onmiddellijk in de koelkast worden bewaard bij 2°C tot 8°C in de oorspronkelijke doos. De behandeling met Zolgensma moet binnen 14 dagen na ontvangst van de injectieflacons worden opgestart. De datum van ontvangst moet op de originele doos worden vermeld voordat het product in de koelkast wordt bewaard.

### Bereiding

De injectieflacons moeten vóór gebruik worden ontdooid:

- Voor verpakkingen met maximaal 9 injectieflacons – ontdooi ongeveer 12 uur in de koelkast (2°C tot 8°C) of 4 uur op kamertemperatuur (20°C tot 25°C).
- Voor verpakkingen met maximaal 14 injectieflacons – ontdooi ongeveer 16 uur in de koelkast (2°C tot 8°C) of 6 uur op kamertemperatuur (20°C tot 25°C).

Gebruik Zolgensma alleen nadat het is ontdooid.

Eens ontdooid mag het geneesmiddel niet meer opnieuw worden ingevroren.

Zwenk Zolgensma voorzichtig nadat het is ontdooid. NIET schudden.

Gebruik dit geneesmiddel niet als u deeltjes of verkleuring opmerkt nadat het bevroren product is ontdooid en voorafgaand aan de toediening.

Nadat Zolgensma is ontdooid, moet het zo snel mogelijk worden toegediend.

### Toediening

Zolgensma mag slechts ÉÉNMALIG aan de patiënt worden toegediend.

De dosis Zolgensma en het precieze aantal injectieflacons dat voor iedere patiënt vereist is, worden berekend op basis van het lichaamsgewicht van de patiënt (zie rubriek 4.2 en 6.5 van de SPC).

Om Zolgensma toe te dienen, trekt u het volledige dosisvolume op in de spuit. Zodra het dosisvolume in de spuit is opgetrokken, moet het binnen 8 uur worden toegediend. Verwijder eventuele lucht uit de spuit alvorens het geneesmiddel toe te dienen bij de patiënt via een intraveneuze infusie met behulp van een veneuze katheter ingebracht in een ader. Het is raadzaam een tweede katheter (back-upkatheter) in te brengen voor het geval de eerste katheter geblokkeerd raakt.

Zolgensma moet worden toegediend met een spuitpomp als een enkelvoudige intraveneuze infusie met een langzame infusiesnelheid van ongeveer 60 minuten. Het mag alleen als een intraveneuze infusie worden toegediend. Het mag niet worden toegediend als een snelle intraveneuze injectie of bolus. Na afloop van de infusie moet de lijn met natriumchloride 9 mg/ml (0,9%) oplossing voor injectie worden gespoeld.

### Vernietiging

Al het ongebruikte geneesmiddel of afvalmateriaal dient te worden vernietigd overeenkomstig lokale richtlijnen voor het hanteren van biologisch afval.

Zolgensma kan tijdelijk worden uitgescheiden, voornamelijk via het lichaamsafval. Verzorgers en gezinsleden van de patiënt moeten geadviseerd worden over de volgende instructies met betrekking tot een correcte hantering van lichaamsvocht en lichaamsafval van de patiënt:

- Een goede handhygiëne (beschermende handschoenen dragen en de handen nadien zorgvuldig wassen met zeep en warm stromend water, of een handreiniger op basis van alcohol) is vereist bij direct contact met lichaamsvocht en lichaamsafval van de patiënt gedurende minimaal 1 maand na behandeling met Zolgensma.
- Wegwerpluiers moeten in dubbele plastic zakken worden geplaatst en kunnen met het huishoudelijk afval worden verwijderd.