ЛП-№(001462)-(РГ-RU) от 02.02.2024

СООТВЕТСТВУЕТ ЭКСПЕРТНОМУ ОТЧЕТУ
от 31.01.2024 № 1708
(ПОСЛЕДОВАТЕЛЬНОСТЬ 0007)

Листок-вкладыш - информация для пациента

Золгенсма®, 2,0×10^{13} вектор-геномов/мл, раствор для инфузий

Действующее вещество: онасемногеН абепарвовек

▼ Лекарственный препарат подлежит дополнительному мониторингу, который способствует быстрому выявлению новых сведений о безопасности. Вы можете помочь, сообщая информацию о любых нежелательных реакциях, которые возникли в период применения лекарственного препарата (в том числе и о случаях его неэффективности). Способ сообщения о нежелательных реакциях описан в разделе 4 листка-вкладыша.

Перед приемом препарата полностью прочитайте листок-вкладыш, поскольку в нем содержатся важные для Вас сведения.

- Сохраните листок-вкладыш. Возможно, Вам потребуется прочитать его еще раз.
- Если у Вас возникли дополнительные вопросы, обратитесь к лечащему врачу Вашего ребенка, работнику аптеки или медицинской сестре.
- Если у Вашего ребенка возникли какие-либо нежелательные реакции, обратитесь к лечащему врачу Вашего ребенка, работнику аптеки или медицинской сестре. Данная рекомендация распространяется на любые возможные нежелательные реакции, в том числе на не перечисленные в разделе 4 листка-вкладыша.

СОДЕРЖАНИЕ ЛИСТКА-ВКЛАДЫША

1. Что из себя представляет препарат Золгенсма®, и для чего его применяют
2. О чем следует знать Вам перед применением препарата Золгенсма® для Вашего ребенка
3. Применение препарата Золгенсма®
4. Возможные нежелательные реакции
5. Хранение препарата Золгенсма®
6. Содержимое упаковки и прочие сведения

1. Что из себя представляет препарат Золгенсма®, и для чего его применяют

Препарат Золгенсма® представляет собой геннотерапевтический препарат. Действующее вещество препарата, онасемногеН абепарвовек, содержит генетический материал человека.

Показания к применению

Препарат Золгенсма® показан для применения у:

СООТВЕТСТВУЕТ ЭКСПЕРТНОМУ ОТЧЕТУ
от 31.01.2024 № 1708
(ПОСЛЕДОВАТЕЛЬНОСТЬ 0007)

- пациентов со спинальной мышечной атрофией (СМА) с биаллельной мутацией в гене SMN1 и клиническим диагнозом СМА 1-го типа или
- пациентов со СМА с биаллельной мутацией гена SMN1 и не более чем с тремя копиями гена SMN2.

Способ действия препарата Золгенсма®

СМА развивается при наличии дефекта в гене или отсутствии гена, необходимого для производства незаменимого белка под названием белок «выживаемости двигательных нейронов» (SMN). Если в организме отсутствует белок SMN, происходит гибель нервов, контролирующих движения мышц (двигательных нейронов). Это приводит к ослаблению и атрофии мышц с последующей утратой способности к движению.

Препарат Золгенсма® доставляет в организм человека полностью функционирующую копию гена SMN, благодаря которой обеспечивается продукция белка SMN. Данный ген доставляется в нуждающиеся в нем клетки с помощью измененного вируса (вирусного вектора), который не может вызвать заболевание у человека.

Если у Вас остались вопросы о том, как действует препарат Золгенсма®, или почему он был назначен, обратитесь к лечащему врачу Вашего ребенка или другому медицинскому работнику.

2. О чем следует знать перед применением препарата Золгенсма®

Тщательно выполняйте рекомендации лечащего врача. Они могут отличаться от общей информации в этом листке-вкладыше.

Особые указания и меры предосторожности

Перед введением препарата Вашему ребенку проведут анализы на наличие антител к вирусу, чтобы проверить, подходит ли ему/ей данный препарат.

Если что-то из перечисленного относится к Вашему ребенку, сообщите об этом лечащему врачу или другому медицинскому работнику.

- **Заболевания печени.** При лечении препаратом Золгенсма® может развиваться иммунный ответ, вызывающий повышение уровня ферментов печени или в редких случаях приводящий к ее повреждению. Повреждение печени может привести к серьезным последствиям, включая печеночную недостаточность и смерть. Возможные признаки, на которые следует обратить внимание после введения препарата, включают рвоту, желтуху (пожелтение кожи или белков глаз) и снижение внимания. Немедленно

СООТВЕТСТВУЕТ ЭКСПЕРТНОМУ ОТЧЕТУ
от 31.01.2024 № 1708
(ПОСЛЕДОВАТЕЛЬНОСТЬ 0007)

сообщите врачу, если Вы заметили, что у Вашего ребенка появляются какие-либо симптомы, указывающие на повреждение печени. Перед началом лечения препаратом Золгенсма® Вашему ребенку будет проведен анализ крови для оценки функции печени. Кроме того, после введения препарата (в течение не менее 3 месяцев) будут проводиться контрольные анализы крови для исключения повышения уровня ферментов печени. Более подробная информация приведена в разделе 4.

- **Инфекция (например, простуда, грипп или бронхиолит), развивающаяся у ребенка до или после введения препарата Золгенсма®,** может привести к более серьезным осложнениям. Лица, осуществляющие уход, и лица, находящиеся в тесном контакте с пациентом, должны соблюдать правила профилактики инфекций (например, гигиена рук, респираторная гигиена/кашлевой этикет, ограничение потенциальных контактов). Признаки возможной инфекции включают кашель, свистящее дыхание, насморк, боль в горле и повышение температуры тела. В случае появления у Вашего ребенка каких-либо симптомов, свидетельствующих об инфекции, **до** или **после** введения препарата Золгенсма® незамедлительно сообщите об этом лечащему врачу.
- **Кровоподтеки или кровотечение после введения препарата Золгенсма®.** Применение препарата Золгенсма® может снижать уровень тромбоцитов (тромбоцитопения). Как правило, это происходит в течение первых двух недель после введения препарата Золгенсма®. Перед началом лечения препаратом Золгенсма® Вашему ребенку будет проведен анализ крови для определения уровня тромбоцитов. Кроме того, в течение определенного периода времени после лечения Вашему ребенку будут проводиться регулярные анализы крови для контроля изменений уровня тромбоцитов. Более подробная информация приведена в разделе 4.
- **Обратитесь за неотложной медицинской помощью, если у Вашего ребенка отмечается склонность к образованию синяков, судороги (припадки) или уменьшение количества выделяемой мочи после введения препарата Золгенсма®.** Нарушение свертывания крови в мелких сосудах (тромботическая микроангиопатия) сопровождается снижением количества эритроцитов и клеток, участвующих в процессе свертывания (тромбоцитов). Образование сгустков крови у Вашего ребенка может повлиять на работу почек. Данное явление наблюдалось, как правило, в течение первых двух недель после введения препарата Золгенсма®. Перед применением препарата Золгенсма® Вашему ребенку будет выполнен анализ крови для определения количества клеток крови (включая эритроциты и тромбоциты), а также уровня

СООТВЕТСТВУЕТ ЭКСПЕРТНОМУ ОТЧЕТУ
от 31.01.2024 № 1708
(ПОСЛЕДОВАТЕЛЬНОСТЬ 0007)

креатинина - показателя, который позволяет оценить функцию почек. Возможно, после введения препарата Золгенсма® врач Вашего ребенка сочтет необходимым провести анализ крови (для определения уровня тромбоцитов) и измерить артериальное давление. Более подробная информация приведена в разделе 4.

- **После применения препарата Золгенсма® у Вашего ребенка наблюдается сероватый/голубоватый цвет кожи, затрудненное дыхание, отеки конечностей или живота.** Применение препарата Золгенсма® может вызывать повышение уровня специфического белка сердечной мышцы под названием «тропонин I», что является признаком поражения сердца. Перед началом лечения препаратом Золгенсма® Вашему ребенку будет проведен анализ крови для определения уровня тропонина I. Кроме того, в течение определенного периода времени после лечения Вашему ребенку будут проводиться регулярные анализы крови для контроля изменений уровня тропонина I. Более подробная информация приведена в разделе 4.

Применение других лекарственных препаратов (взаимодействие с другими лекарственными средствами, включая вакцины и биологические препараты)

Сообщите лечащему врачу Вашего ребенка или другому медицинскому работнику, если ребенок принимает, недавно принимал или может принимать какие-либо другие лекарственные препараты, включая отпускаемые без рецепта.

- **Преднизолон**. В связи с введением препарата Золгенсма® Ваш ребенок также будет получать препарат под названием «преднизолон» в течение определенного периода времени (см. также раздел 3). Преднизолон относится к группе глюкокортикостероидов, которые применяются для избегания возможного повышения уровня ферментов печени после введения препарата Золгенсма®. С этой целью врач назначит Вашему ребенку преднизолон или другой глюкокортикостероид.
- **Вакцинация**. В связи с тем, что глюкокортикостероиды оказывают влияние на иммунную систему, лечащий врач Вашего ребенка может счесть необходимым отложить проведение некоторых видов вакцинации во время лечения преднизолоном или другим глюкокортикостероидом. Если у Вас остались вопросы, обратитесь к лечащему врачу Вашего ребенка или другому медицинскому работнику.

Если Вы не уверены в том, что препарат, который получает Ваш ребенок, является одним из перечисленных выше, проконсультируйтесь с лечащим врачом Вашего ребенка или другим медицинским работником.

СООТВЕТСТВУЕТ ЭКСПЕРТНОМУ ОТЧЕТУ
от 31.01.2024 № 1708
(ПОСЛЕДОВАТЕЛЬНОСТЬ 0007)

Дополнительная информация для родителей/оказывающих уход лиц

СМА в поздней стадии

Препарат Золгенсма® может спасти жизнеспособные двигательные нейроны, однако не способен вернуть к жизни уже погибшие клетки. Лечение препаратом Золгенсма® особенно эффективно у детей с менее выраженными симптомами СМА (такими как отсутствие рефлексов или снижение мышечного тонуса), которые имеют достаточное количество жизнеспособных двигательных нейронов. Применение препарата Золгенсма® может быть неэффективно у детей с тяжелой мышечной слабостью, проблемами с дыханием, потребностью в постоянной искусственной вентиляцией легких (ИВЛ) или нарушенной функцией глотания. Лечащий врач определит, может ли подойти данный препарат Вашему ребенку.

Теоретический риск возникновения опухолей, связанный с потенциальным внедрением в ДНК

Существует вероятность, что такие методы лечения, как препарат Золгенсма®, могут внедряться в ДНК клеток человеческого тела. Как следствие, препарат Золгенсма® может способствовать риску возникновения опухолей из-за особенностей препарата.

Правила гигиены

После введения препарата Золгенсма® входящее в его состав действующее вещество может некоторое время выделяться из организма ребенка с продуктами жизнедеятельности. Родителям и оказывающим уход лицам следует строго соблюдать правила гигиены рук в течение не менее 1 месяца после введения препарата Золгенсма®. Надевайте защитные перчатки при непосредственном контакте с физиологическими жидкостями Вашего ребенка или продуктами жизнедеятельности, после чего тщательно мойте руки с мылом в теплой проточной воде или обрабатывайте дезинфицирующим средством для рук на спиртовой основе. Для утилизации загрязненных подгузников используйте одноразовые пакеты для мусора. Одноразовые подгузники можно утилизировать с обычными бытовыми отходами.

Перечисленные правила необходимо соблюдать по меньшей мере в течение 1 месяца после введения препарата Золгенсма®. Если у Вас остались вопросы, обратитесь к лечащему врачу Вашего ребенка или другому медицинскому работнику.

Не применяйте препарат Золгенсма®:

- если у Вашего ребенка аллергия на онасемногеен абепарвовек или любые другие компоненты препарата (перечисленные в разделе 6 листка - вкладыша).

СООТВЕТСТВУЕТ ЭКСПЕРТНОМУ ОТЧЕТУ
от 31.01.2024 № 1708
(ПОСЛЕДОВАТЕЛЬНОСТЬ 0007)

3. Применение препарата Золгенсма®

Препарат Золгенсма® будет введен Вашему ребенку врачом или медицинским работником.

Доза препарата Золгенсма® измеряется в единицах, называемых «векторными геномами», и будет определена лечащим врачом с учетом массы тела ребенка.

Рекомендуемая доза препарата Золгенсма® составляет $1{,}1 \times 10^{14}$ векторных геномов на килограмм (кг) массы тела. Препарат будет вводиться ребенку внутривенно (в вену) путем однократной (капельной) инфузии в течение приблизительно 1 часа.

Препарат Золгенсма® вводят только ОДИН раз.

За 24 ч до введения препарата Золгенсма® Ваш ребенок также будет получать преднизолон (или другой глюкокортикостероид) через рот. Доза глюкокортикостероида также будет определена с учетом массы тела ребенка. Рекомендуемая доза преднизолона составляет 1 мг/кг массы тела в сутки. Лечащий врач определит общую дозу глюкокортикостероида для Вашего ребенка.

Ваш ребенок будет получать глюкокортикостероид ежедневно в течение как минимум 2 месяцев после введения дозы препарата Золгенсма® или до тех пор, пока уровень ферментов печени не снизится до приемлемого уровня. Лечение глюкокортикостероидом прекращают путем постепенного снижения дозы. Врач расскажет, когда и как применение глюкокортикостероида будет прекращено.

Если у Вас остались вопросы, связанные с применением препарата Золгенсма® или преднизолона, Вы можете задать их лечащему врачу Вашего ребенка или другому медицинскому работнику.

4. Возможные нежелательные реакции

Подобно всем лекарственным препаратам препарат Золгенсма® может вызывать нежелательные реакции, однако они возникают не у всех.

Некоторые нежелательные реакции могут быть серьезными.

Незамедлительно обратитесь за медицинской помощью, если у Вашего ребенка наблюдается один из перечисленных серьезных побочных эффектов.

Часто: *могут проявляться не более чем у 1 из 10 человек*

- Кровоподтеки или кровотечения, сохраняющиеся дольше, чем обычно после травмы - возможные признаки снижения уровня тромбоцитов.

СООТВЕТСТВУЕТ ЭКСПЕРТНОМУ ОТЧЕТУ
от 31.01.2024 № 1708
(ПОСЛЕДОВАТЕЛЬНОСТЬ 0007)

- Сероватый или голубоватый цвет кожи, затруднение дыхания (например, учащение дыхания, одышка), отеки конечностей или живота - возможные признаки проблем с сердцем.

С неизвестной частотой: *частоту развития невозможно оценить на основании имеющихся данных*

- Склонность к образованию синяков, судороги (припадки), уменьшение количества выделяемой мочи - возможные признаки тромботической микроангиопатии.
- Рвота, желтуха (пожелтение кожи или белков глаз) или снижение внимания - возможные признаки поражения печени (включая печеночную недостаточность).

Другие возможные побочные эффекты

Если у Вашего ребенка отмечаются какие-либо другие побочные эффекты, сообщите об этом лечащему врачу Вашего ребенка или другому медицинскому работнику. Могут развиваться следующие побочные эффекты.

Очень часто: *могут проявляться более чем у 1 из 10 человек*

- Повышение уровня ферментов печени по результатам анализа крови

Часто: *могут проявляться не более чем у 1 из 10 человек*

- Рвота
- Лихорадка

Если Вы заметили какие-либо побочные эффекты, не указанные в данном листке-вкладыше, сообщите об этом лечащему врачу Вашего ребенка или другому медицинскому работнику.

Сообщение о нежелательных реакциях

Если у Вас возникают какие-либо нежелательные реакции, проконсультируйтесь с врачом. Данная рекомендация распространяется на любые возможные нежелательные реакции, в том числе на не перечисленные в листке-вкладыше. Вы также можете сообщить о нежелательных реакциях напрямую (см. ниже). Сообщая о нежелательных реакциях, Вы помогаете получить больше сведений о безопасности препарата.

Российская Федерация

Федеральная служба по надзору в сфере здравоохранения

Адрес: 109012, г. Москва, Славянская площадь, д. 4, стр. 1

СООТВЕТСТВУЕТ ЭКСПЕРТНОМУ ОТЧЕТУ
от 31.01.2024 № 1708
(ПОСЛЕДОВАТЕЛЬНОСТЬ 0007)

Телефон: +7 800 550-99-03

Электронная почта: pharm@roszdravnadzor.gov.ru

Сайт в информационно-телекоммуникационной сети «Интернет»: https://www.roszdravnadzor.gov.ru

5. Хранение препарата Золгенсма®

- Препарат следует хранить в недоступном для детей месте.
- Не используйте препарат после истечения срока годности, указанного на этикетке флакона и картонной упаковке.
- Флаконы транспортируют в замороженном виде (при температуре не выше минус 60 °C).
- После получения набор с препаратом следует немедленно поместить в холодильник с температурой 2–8 °C.
- Повторно не замораживать.
- Препарат Золгенсма® необходимо использовать в течение 14 дней с момента получения флаконов.

6. Содержимое упаковки и прочие сведения

По 5,5 или 8,3 мл раствора для инфузий в стерильный, бесцветный пластиковый флакон Crystal Zenith из циклоолефинового полимера объемом 10 мл, укупоренный серой резиновой пробкой из хлорбутила, обкатанной алюминиевым колпачком с пластиковой отщелкивающейся крышкой («flip-off» устройство) светло-зеленого цвета. На горлышке флакона расположен стикер с описанием маркировки флакона на русском языке.

Набор из 2-14 флаконов по 5,5 мл и/или 8,3 мл в картонную подложку для флаконов вместе с инструкцией по медицинскому применению в пачку картонную, на которую нанесен стикер.

Варианты конфигурации наборов:

Флакон объемом 5,5 мл	**Флакон объемом 8,3 мл**
0	2
2	1
1	2
0	3
2	2
1	3

СООТВЕТСТВУЕТ ЭКСПЕРТНОМУ ОТЧЕТУ
от 31.01.2024 № 1708
(ПОСЛЕДОВАТЕЛЬНОСТЬ 0007)

Флакон объемом 5,5 мл	**Флакон объемом 8,3 мл**
0	4
2	3
1	4
0	5
2	4
1	5
0	6
2	5
1	6
0	7
2	6
1	7
0	8
2	7
1	8
0	9
2	8
1	9
0	10
2	9
1	10
0	11
2	10
1	11
0	12
2	11
1	12
0	13
2	12
1	13
0	14

Допускается наличие контроля первичного вскрытия.

Перечень вспомогательных веществ

Трометамин

Магния хлорид

Натрия хлорид

Полоксамер 188

Хлористоводородная кислота

Вода для инъекций

СООТВЕТСТВУЕТ ЭКСПЕРТНОМУ ОТЧЕТУ
от 31.01.2024 № 1708
(ПОСЛЕДОВАТЕЛЬНОСТЬ 0007)

Несовместимость

Учитывая отсутствие исследований о лекарственной совместимости, данный препарат нельзя смешивать с другими.

Держатель регистрационного удостоверения

Новартис Фарма АГ / Novartis Pharma AG

Лихтштрассе 35, 4056 Базель, Швейцария / Lichtstrasse 35, 4056 Basel, Switzerland

Производитель

Новартис Генные Терапии, Инк., США / Novartis Gene Therapies, Inc., USA

2512, Сауф Трицентер Бульвар, Дарем, штат Северная Каролина, 27713, США/ 2512 S. TriCenter Blvd, Durham, North Carolina (NC) 27713, United States (USA)

За любой информацией о препарате, а также в случаях возникновения претензий следует обращаться к локальному представителю держателя регистрационного удостоверения:

Российская Федерация

ООО «Новартис Фарма»

125315 г. Москва, Ленинградский проспект, д. 70

тел.: +7 495 967 12 70

факс: +7 495 967 12 68

эл. почта: drug.safety_russia@novartis.com

Данный листок-вкладыш пересмотрен

Прочие источники информации

Подробные сведения о препарате содержатся на веб-сайте Союза http://eec.eaeunion.org/