

Dieser Leitfaden wurde als verpflichtender Teil der Zulassung in Abstimmung mit dem Bundesamt für Sicherheit im Gesundheitswesen (BASG) erstellt und als zusätzliche risikominimierende Maßnahme beauftragt. Dadurch soll sichergestellt werden, dass Angehörige der Gesundheitsberufe, die Zolgenisma® verschreiben und zur Anwendung bringen, die besonderen Sicherheitsanforderungen kennen und berücksichtigen.



## Leitfaden zur Verringerung von Arzneimittel- und Anwendungsrisiken – Ärzte

Bitte beachten Sie auch die Fachinformation zu Zolgenisma®.

### Zolgenisma® (Onasemnogen-Abeparvovec)

▼ Dieses Arzneimittel unterliegt einer zusätzlichen Überwachung. Dies ermöglicht eine schnelle Identifizierung neuer Erkenntnisse über die Sicherheit. Angehörige von Gesundheitsberufen sind aufgefordert, jeden Verdachtsfall einer Nebenwirkung zu melden. Hinweise zur Meldung von Nebenwirkungen finden Sie auf der Rückseite dieses Leitfadens.

Bitte händigen Sie den Eltern und Betreuungspersonen, deren Kind mit Zolgenisma® behandelt wird, den Leitfaden für Eltern und Betreuungspersonen aus.



## Inhalt

Mögliche Risiken von Zolgensma .....	4
Hepatotoxizität .....	4
Thrombotische Mikroangiopathie .....	5
Risikomanagement bei Zolgensma.....	6
Vor Beginn der Behandlung .....	6
Zum Zeitpunkt der Infusion .....	9
Nach der Infusion.....	11
Zeitplan für regelmäßige Bluttests nach der Infusion von Zolgensma .....	14
1. Monat nach Infusion (30 Tage) .....	14
2. Monat nach Infusion (60 Tage) .....	15
3. Monat nach Infusion (90 Tage) .....	16
Checkliste zur Anwendung .....	17
Notizen .....	19
Meldung von Nebenwirkungen .....	20

Aus Gründen der besseren Lesbarkeit wird hier ausschließlich die männliche Form verwendet, entsprechende Begriffe beziehen sich aber auf Personen jeden Geschlechts.

## Mögliche Risiken von Zolgensma

Im Folgenden werden wichtige identifizierte Risiken nach der Behandlung mit Zolgensma beschrieben.

Bitte beachten Sie, dass die Warnhinweise und Vorsichtsmaßnahmen für Zolgensma nicht auf die in diesem Leitfaden genannten beschränkt sind. Dieser Leitfaden fokussiert auf die wichtigsten Sicherheitsaspekte im Zusammenhang mit Hepatotoxizität und thrombotischer Mikroangiopathie und soll dazu beitragen, mögliche Risiken diesbezüglich vor, während und nach der Behandlung zu minimieren.

Entnehmen Sie bitte die vollständigen Sicherheits- und Verschreibungshinweise der Fachinformation.

### Hepatotoxizität



Die **immunvermittelte Hepatotoxizität** nach einer Behandlung mit Zolgensma äußert sich im Allgemeinen in erhöhten Werten der Alaninaminotransferase (ALT) und/oder Aspartataminotransferase (AST).

Nach der Behandlung mit Zolgensma wurde über akute schwere Leberschäden und akutes Leberversagen berichtet, einschließlich tödlicher Fälle. Diese wurden normalerweise innerhalb von zwei Monaten nach der Behandlung und trotz der Gabe von Kortikosteroiden vor und nach der Infusion beobachtet.

Eine vorliegende Hepatotoxizität kann eine Anpassung der immunmodulatorischen Behandlung erfordern, wie eine längere Dauer, eine höhere Dosis oder einer Verlängerung der Kortikosteroid-Ausschlebung.

### Thrombotische Mikroangiopathie



Zolgensma kann das Risiko einer **thrombotischen Mikroangiopathie (TMA)** erhöhen. Dies betrifft im Allgemeinen die ersten zwei Wochen nach der Behandlung.

TMA ist eine akute und lebensbedrohliche Erkrankung, die durch Thrombozytopenie, mikroangiopathische hämolytische Anämie und akute Nierenschädigung gekennzeichnet ist. Es wurde über Fälle mit tödlichem Ausgang nach der Behandlung mit Zolgensma berichtet. In einigen Fällen wurde auch eine gleichzeitige Aktivierung des Immunsystems (z. B. durch Infektionen oder Impfungen) als möglicher Auslöser genannt.

Ziehen Sie sofort einen Spezialisten hinzu, wenn Patienten klinische Anzeichen, Symptome oder Laborbefunde zeigen, die auf eine TMA hindeuten, um eine Behandlung entsprechend der klinischen Indikation einzuleiten.

### Zusätzliche Warnungen und Vorsichtsmaßnahmen im Zusammenhang mit Zolgensma umfassen, sind aber nicht beschränkt auf:

- **Thrombozytopenie:** In klinischen Studien mit Zolgensma wurden vorübergehende Abnahmen der Thrombozytenzahl beobachtet, von denen einige die Kriterien einer Thrombozytopenie erfüllten.
- **Erhöhter Troponin-I-Wert:** Nach der Infusion von Zolgensma wurde ein Anstieg der Troponin-I-Werte des Herzens beobachtet.

## Risikomanagement bei Zolgensma

### Vor Beginn der Behandlung

**Informieren Sie Eltern und Betreuungspersonen über die Risiken im Zusammenhang mit Zolgensma, einschließlich aber nicht beschränkt auf TMA, Leberversagen und Thrombozytopenie sowie deren Anzeichen und Symptome.**

### Blutuntersuchungen



Die Bildung von Antikörpern gegen das AAV9 (Adeno-assoziiertes Virus vom Serotyp 9) kann nach natürlicher Exposition erfolgen.

**Die Patienten sollten vor der Behandlung mit einem entsprechend validierten Test auf das Vorhandensein von AAV9-Antikörpern untersucht werden.**

**Es ist noch nicht bekannt, ob oder unter welchen Bedingungen Zolgensma bei AAV9-Antikörpertiter über 1:50 sicher und wirksam verabreicht werden kann. Wenn ein AAV9-Antikörpertiter von über 1:50 gemessen wird, kann eine erneute Testung durchgeführt werden.**

Vor der Verabreichung von Zolgensma müssen weiter mindestens die Ausgangswerte für folgende Laborparameter bestimmt werden:

- Leberfunktion: ALT, AST, Gesamtbilirubin, Albumin, Prothrombinzeit, partielle Thromboplastinzeit (PTT) und International Normalized Ratio (INR)
- Kreatinin
- Vollständiges Blutbild (einschließlich Hämoglobin und Thrombozytenzahl)
- Troponin-I

Regelmäßige Blutuntersuchungen sind für mindestens 3 Monate nach der Zolgensma-Infusion erforderlich. Einen detaillierten Zeitplan für die Blutuntersuchungen finden Sie auf den Seiten 14–16 dieses Leitfadens.

**Informieren Sie Eltern und Betreuungspersonen über die Notwendigkeit regelmäßiger Blutentnahmen.**

Eltern und Betreuungspersonen müssen darauf hingewiesen werden, dass nach der Behandlung mit Zolgensma mindestens 3 Monate lang regelmäßig Blutuntersuchungen durchgeführt werden müssen. Die Einhaltung dieser Termine ist wichtig für die Sicherheit des Patienten. Die Termine für die Blutuntersuchungen sollten am besten bereits vor der Behandlung vereinbart werden.

### Verabreichung von Kortikosteroiden

Nach der Verabreichung von Zolgensma kommt es zu einer Immunantwort auf das AAV9-Kapsid, die zu folgenden Reaktionen führen kann:

- Erhöhungen der Leber-Aminotransferasen
- Erhöhungen von Troponin-I
- Verminderte Thrombozytenzahl

Um diese Immunantwort zu dämpfen, wird eine immunmodulatorische Behandlung mit Kortikosteroiden empfohlen.



**Die Kortikosteroidbehandlung sollte 24 Stunden vor der Zolgensma-Infusion mit folgendem Therapieregime eingeleitet werden:**

**Prednisolon oral 1 mg/kg/Tag** (oder gleichwertig, wenn ein anderes Kortikosteroid verwendet wird)

**Informieren Sie Eltern und Betreuungspersonen über die Bedeutung der Kortikosteroidmedikation.**

Weisen Sie Eltern und Betreuungspersonen darauf hin, dass es wichtig ist, Sie bei jedem Erbrechen Ihres Kindes zu informieren, damit sichergestellt werden kann, dass der Patient keine Kortikosteroiddosis versäumt.

## Allgemeiner Gesundheitszustand



Aufgrund des erhöhten Risikos einer schwerwiegenden systemischen Immunreaktion wird empfohlen, dass der allgemeine Gesundheitszustand der Patienten klinisch stabil ist, einschließlich Flüssigkeitszufuhr und Ernährungszustand, und dass keine Infektionen vorliegen.

**Bei akuten oder chronischen unkontrollierten aktiven Infektionen sollte die Behandlung verschoben werden, bis die Infektion abgeklungen und der Patient klinisch stabil ist.**

### **Informieren Sie Eltern und Betreuungspersonen über die Notwendigkeit erhöhter Wachsamkeit bei der Prävention, Überwachung und Behandlung von Infektionen vor und nach der Zolgensma-Infusion.**

Eltern und Betreuungspersonen müssen:

- über die Anzeichen und Symptome informiert werden, die auf eine Infektion hindeuten. Sobald der Patient irgendwelche Anzeichen und Symptome einer Infektion zeigt, müssen sie Sie dringend kontaktieren.
- zur Vorbeugung von Infektionen beitragen, indem sie Situationen vermeiden, die das Infektionsrisiko für den Patienten erhöhen könnten, z. B. durch gute Handhygiene, richtiges Verhalten beim Husten/Niesen und die Einschränkung möglicher Kontakte.

Informieren Sie Eltern und Betreuungspersonen über das mögliche Infektionsrisiko bei einer Beschneidung und empfehlen Sie, die Beschneidung in einer medizinischen Einrichtung durchzuführen.

## Impfungen



Vor Beginn der Behandlung sollte der Impfplan des Patienten überprüft werden.

Wenn möglich, sollte der Impfplan an die begleitende Kortikosteroid-Gabe vor und nach der Infusion von Zolgensma angepasst werden.

Eine saisonale Prophylaxe gegen das Respiratorische Synzytialvirus (RSV) wird empfohlen und sollte auf dem neuesten Stand sein. Lebendimpfstoffe wie Masern, Mumps und Röteln (MMR) sowie Varizellen sollten bei Patienten unter einer immunsuppressiven Steroiddosis nicht angewendet werden.

## Gewicht



Die Patienten erhalten eine Dosis von nominal  $1,1 \times 10^{14}$  vg/kg Zolgensma. Die Gesamtmenge an Zolgensma, die der Patient erhält, wird anhand des Körpergewichts bestimmt. Der Patient muss vor der Behandlung gewogen werden, um sicherzustellen, dass er die richtige Dosis erhält.

## Zum Zeitpunkt der Infusion

### Allgemeiner Gesundheitszustand



**Prüfen Sie, ob der allgemeine Gesundheitszustand des Patienten für die Infusion geeignet ist (z. B. Infektionen abgeklungen) oder ob ein Aufschub notwendig ist.**

Die Behandlung sollte nicht gleichzeitig mit aktiven Infektionen begonnen werden, weder mit einer akuten (z. B. akute Atemwegsinfektionen oder akute Hepatitis) noch mit einer unkontrollierten chronischen Infektion (z. B. chronisch aktive Hepatitis B).

Bei akuten oder unkontrollierten chronisch aktiven Infektionen sollte die Behandlung verschoben werden, bis die Infektion abgeklungen ist und der Patient klinisch stabil ist.

### Gewicht



Die Dosierung von Zolgensma ist gewichtsabhängig. Wenn zwischen der Bestellung von Zolgensma und der Infusion eine Verzögerung eintritt, muss der Patient möglicherweise erneut gewogen werden, um die Genauigkeit der Zolgensma-Dosis sicherzustellen.

**Wenden Sie sich umgehend an Novartis, wenn es seit der Bestellung von Zolgensma eine Veränderung am Gewicht des Patienten gegeben hat, um die Bestellung ggf. anzupassen.**

### Verabreichung von Kortikosteroiden



**Vergewissern Sie sich, dass die Kortikosteroidbehandlung 24 Stunden vor der Infusion von Zolgensma begonnen wurde.**

Um die Immunreaktion zu dämpfen, sollte die immunmodulatorische Behandlung mit Kortikosteroiden 24 Stunden vor der Infusion begonnen und für 30 Tage (einschließlich des Tags der Verabreichung von Zolgensma) fortgesetzt werden. Die anschließende Ausschleichphase sollte mindestens 28 Tage betragen. Informationen zur Kortikosteroid-Dosierung nach der Infusion finden Sie auf Seite 11.

## Zolgensma-Infusion



### Zolgensma ist nur für die intravenöse Infusion von Einzeldosen bestimmt.

Das Medikament sollte mit der Spritzenpumpe als einmalige, langsame intravenöse Infusion über etwa 60 Minuten verabreicht werden. Das Anlegen eines zweiten („Sicherungs“-)Katheters wird für den Fall einer Blockierung im Primärkatheter empfohlen.

**Verabreichen Sie Zolgensma nicht als intravenösen Push oder Bolus.**

Nach Abschluss der Infusion sollte die Leitung mit physiologischer Kochsalzlösung gespült werden.

Wichtige Informationen zur Dosierung und Verabreichung von Zolgensma finden Sie in Abschnitt 4.2 der Fachinformation.



**Zolgensma enthält genetisch veränderte Organismen. Sie sollten daher bei der Handhabung oder Verabreichung von Zolgensma die entsprechenden Vorsichtsmaßnahmen treffen:**

- Tragen Sie bei der Handhabung und Verabreichung von Zolgensma persönliche Schutzausrüstung (einschließlich Handschuhe, Schutzbrille, Laborkittel und Ärmelschoner). Personen mit Hautverletzungen oder Kratzern auf der Haut dürfen nicht mit Zolgensma arbeiten.
- Entsorgen Sie alle Materialien, die mit Zolgensma in Kontakt gekommen sind oder sein könnten (z. B. Durchstechflaschen, Injektionsmaterial oder Tücher) sowie nicht verwendetes Arzneimittel gemäß den lokalen Richtlinien zum Umgang mit biologischen Abfällen.

Ausführliche Hinweise zur Handhabung, Entsorgung (einschließlich der ordnungsgemäßen Entsorgung von Ausscheidungen des Patienten) und versehentlichen Exposition finden Sie in Abschnitt 6.6 der Fachinformation.

## Nach der Infusion

### Verabreichung von Kortikosteroiden



**Die Kortikosteroid-Behandlung sollte mindestens für 2 Monate fortgesetzt und erst dann ausgeschlichen werden, wenn die Werte für AST und ALT weniger als das 2-Fache der Normobergrenze (ULN) betragen und alle anderen Werte, wie z. B. Gesamtbilirubin, wieder im Normalbereich liegen.**

Falls die Leberenzymwerte des Patienten nicht schnell genug sinken, muss die Kortikosteroid-Gabe möglicherweise verlängert werden, bis die Werte ein akzeptables Niveau erreichen. Die verabreichte Kortikosteroiddosis sollte in dieser Zeit langsam reduziert werden, bis die Behandlung vollständig beendet werden kann.

### Immunmodulatorisches Therapieregime nach der Infusion



**Prednisolon 1 mg/kg/Tag p.o. für 30 Tage einschließlich des Tags der Verabreichung von Zolgensma (oder Äquivalent, bei Verabreichung eines anderen Kortikosteroids)**

→ Überprüfung der Leberfunktion am Ende des 30-tägigen Zeitraums der Kortikosteroidbehandlung

**Bei Patienten mit unauffälligem Befund (normale klinische Untersuchung, Gesamtbilirubin im Normalbereich, ALT- und AST-Werte unter dem 2-Fachen ULN):**

→ Prednisolon (oder Äquivalent) über 28 Tage allmählich ausschleichen  
z. B.: 2 Wochen mit 0,5 mg/kg/Tag und dann 2 Wochen mit 0,25 mg/kg/Tag Prednisolon p.o.

**Bei Patienten mit abweichenden Leberfunktionswerten:**

→ Prednisolon-Behandlung 1 mg/kg/Tag p.o. fortsetzen, bis die AST- und ALT-Werte unter dem 2-Fachen ULN liegen und alle anderen Werte in den Normalbereich zurückkehren, anschließend für 28 Tage oder bei Bedarf länger schrittweise ausschleichen.

Wenn Patienten zu irgendeinem Zeitpunkt nicht angemessen auf 1 mg/kg/Tag orales Prednisolon (oder Äquivalent) ansprechen, sollte basierend auf dem klinischen Verlauf unverzüglich ein pädiatrischer Gastroenterologe oder Hepatologe konsultiert und eine Anpassung des empfohlenen immunmodulatorischen Regimes, einschließlich einer Erhöhung der Dosis, einer längeren Dauer oder einer Verlängerung der Kortikosteroid-Ausschleichung, in Betracht gezogen werden.

Falls eine orale Kortikosteroidtherapie nicht vertragen wird, kann ein intravenöses Kortikosteroid wie klinisch angezeigt in Betracht gezogen werden.

## Regelmäßige Blutuntersuchungen

Eine enge und regelmäßige Überwachung (klinisch und labortechnisch) des individuellen Patientenverlaufs sollte für mindestens 3 Monate nach der Zolgensma-Infusion erfolgen.



**Die Leberfunktion (ALT, AST, Gesamtbilirubin) sollte in regelmäßigen Abständen für mindestens 3 Monate nach der Infusion mit Zolgensma überwacht werden.**

Untersuchungen sollten wie folgt durchgeführt werden:

- **wöchentlich** im ersten Monat und während des gesamten Zeitraums der Kortikosteroid-Ausschlebung
- **alle 2 Wochen** für einen weiteren Monat und zu anderen Zeiten, wie klinisch angezeigt

Patienten mit sich verschlechternden Leberfunktionstestergebnissen und/oder Anzeichen oder Symptomen einer akuten Erkrankung sollten umgehend untersucht und engmaschig überwacht werden.

**Wenn Patienten nicht auf Kortikosteroide ansprechen oder der Verdacht auf eine Leberschädigung besteht, sollte unverzüglich ein pädiatrischer Gastroenterologe oder Hepatologe konsultiert werden.**



**Die Thrombozytenzahl sollte in den ersten 3 Wochen nach der Infusion und danach regelmäßig überwacht werden.**

Die Thrombozytenzahl sollte wie folgt überwacht werden:

- im ersten Monat **mindestens wöchentlich**
- **jede zweite Woche** im zweiten und dritten Monat, bis die Thrombozytenzahl wieder den Ausgangswert erreicht hat

**Bei Verdacht auf TMA sollte ein Spezialist konsultiert werden.**



**Die Troponin-I-Werte sollten mindestens 3 Monate lang nach der Zolgensma-Infusion oder bis zum Absinken der Werte in den normalen Referenzbereich überwacht werden.**

Ziehen Sie bei Bedarf die Konsultation eines Kardiologen in Betracht.

## Vorübergehende Freisetzung (Shedding)



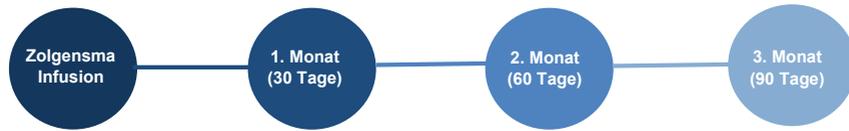
Nach der Infusion kommt es für mindestens 1 Monat zu einer vorübergehenden Freisetzung von Zolgensma, hauptsächlich über Körperausscheidungen des Patienten.

**Informieren Sie Eltern und Betreuungspersonen über folgende Hinweise zur Entsorgung von Körperausscheidungen, die sie mindestens 1 Monat lang nach der Behandlung ihres Kindes mit Zolgensma befolgen sollten.**

Eltern und Betreuungspersonen sollten ...

- Schutzhandschuhe tragen, wenn sie mit Körperflüssigkeiten oder Stuhl in Kontakt kommen.
- sich nach dem Kontakt mit Körperflüssigkeiten oder Stuhl die Hände gründlich mit Seife und fließendem warmen Wasser waschen oder ein Handdesinfektionsmittel auf Alkoholbasis verwenden.
- für die Entsorgung von benutzten Einwegwindeln Plastik-Doppelbeutel verwenden. Der so verpackte Abfall kann weiterhin im Hausmüll entsorgt werden.

## Zeitplan für regelmäßige Bluttests nach der Infusion von Zolgensma



### 1. Monat nach Infusion (30 Tage)

Im ersten Monat nach der Behandlung mit Zolgensma muss Ihr Patient **wöchentlich Blutuntersuchungen zur Überprüfung der Leberfunktion und der Blutplättchenzahl** erhalten. Die Troponin-I-Werte sollten mindestens 3 Monate lang nach der Zolgensma-Infusion oder bis zur Rückkehr der Werte in den normalen Referenzbereich für Patienten mit SMA überwacht werden. Die nachstehende Tabelle soll Ihnen als Hilfestellung für den Zeitplan dieser Blutuntersuchungen dienen.

Anzahl der Wochen nach der Behandlung mit Zolgensma	Blutuntersuchungen
Troponin-I (solange die Werte nicht wieder innerhalb des normalen Referenzbereichs liegen)	
<b>Woche 1</b>	Leberfunktion Anzahl der Blutplättchen
<b>Woche 2</b>	Leberfunktion Anzahl der Blutplättchen
<b>Woche 3</b>	Leberfunktion Anzahl der Blutplättchen
<b>Woche 4</b>	Leberfunktion Anzahl der Blutplättchen

### 2. Monat nach Infusion (60 Tage)

Im zweiten Monat nach der Behandlung mit Zolgensma und während der gesamten Kortikosteroid-Ausschleichung muss bei Ihrem Patienten **wöchentlich eine Blutuntersuchung zur Überprüfung der Leberfunktion** durchgeführt werden. Die **Anzahl der Blutplättchen sollte jede zweite Woche** kontrolliert werden, so lange bis die Anzahl wieder auf den Ausgangswert zurückgeht. Die Troponin-I-Werte sollten mindestens 3 Monate lang nach der Zolgensma-Infusion oder bis zur Rückkehr der Werte in den normalen Referenzbereich überwacht werden.

Anzahl der Wochen nach der Behandlung mit Zolgensma	Blutuntersuchungen
Troponin-I (solange die Werte nicht wieder innerhalb des normalen Referenzbereichs liegen)	
<b>Woche 5</b>	Leberfunktion
<b>Woche 6</b>	Leberfunktion Anzahl der Blutplättchen
<b>Woche 7</b>	Leberfunktion
<b>Woche 8</b>	Leberfunktion Anzahl der Blutplättchen

### 3. Monat nach Infusion (90 Tage)

Im dritten Monat nach der Behandlung mit Zolgensma müssen bei Ihrem Patienten regelmäßige Blutuntersuchungen durchgeführt werden: zweiwöchentlich Überprüfung der Leberfunktion, wenn der Patient am Ende der Ausschleichphase klinisch stabil ist und unauffällige Befunde aufweist, und der Blutplättchenzahl, solange bis diese wieder den Ausgangswert erreicht. Die Troponin-I-Werte sollten mindestens 3 Monate lang oder so lange überwacht werden, bis die Werte wieder im normalen Referenzbereich liegen.

Anzahl der Wochen nach der Behandlung mit Zolgensma	Blutuntersuchungen
Troponin-I (solange die Werte nicht wieder innerhalb des normalen Referenzbereichs liegen)	
<b>Woche 10</b>	Leberfunktion Anzahl der Blutplättchen
<b>Woche 12</b>	Leberfunktion Anzahl der Blutplättchen

#### Während und nach Monat 3 können in bestimmten Fällen weitere Blutuntersuchungen und Überwachungen erforderlich sein, die im Folgenden beschrieben werden

- Wenn sich der Patient noch in der Kortikosteroid-Ausschleichung befindet, sollte die Leberfunktion weiterhin wöchentlich bis zum Ende der Ausschleichung und zu weiteren Zeitpunkten, wie klinisch angezeigt, überwacht werden.
- Die Thrombozytenzahl sollte weiterhin alle 2 Wochen kontrolliert werden, bis sie wieder den Ausgangswert erreicht hat.
- Die Troponin-I-Werte sollten überwacht werden, bis sie wieder in den normalen Referenzbereich fallen.

### Checkliste zur Anwendung

Die folgende Checkliste fasst Maßnahmen vor, während und nach der Infusion von Zolgensma zusammen, die helfen, mögliche Risiken im Zusammenhang mit der Behandlung mit Zolgensma zu verringern.

#### Vor Beginn der Behandlung

- Abgabe** des „Leitfadens für die sichere Anwendung – Eltern und Betreuungspersonen“
- Information von Eltern und Betreuungsperson über:**
  - Die wichtigsten Risiken von Zolgensma und ihre Anzeichen und Symptome, einschließlich TMA, Leberversagen und Thrombozytopenie
  - Vorsichtsmaßnahmen bei der Entsorgung von Körperausscheidungen
  - Die Notwendigkeit einer regelmäßigen Blutentnahme
  - Die Bedeutung der Kortikosteroidmedikation
  - Die Notwendigkeit einer erhöhten Wachsamkeit bei der Prävention, Überwachung und Behandlung von Infektionen vor und nach der Behandlung
- Durchführung von Bluttests** zur Ermittlung der Ausgangswerte, einschließlich **Test auf AAV9-Antikörper**
- Verabreichung von Kortikosteroiden 24 Stunden vor der Behandlung** zur Abschwächung der Immunreaktion
- Bewertung des Impfplans**, ggf. Anpassung
- Überprüfung des allgemeinen Gesundheitszustands**, ggf. Verschiebung der Behandlung bei Infektion
- Ermittlung des Gewichts des Patienten** für die richtige Dosierung von Zolgensma

### Zum Zeitpunkt der Infusion

- Prüfung des allgemeinen Gesundheitszustands**, ist der Patient für die Infusion geeignet (z. B. Abklingen von Infektionen) oder ist ein Aufschub notwendig
- Prüfung, ob die Kortikosteroidbehandlung 24 Stunden vor der Infusion begonnen wurde**, Verabreichung der nächsten Dosis
- Abgleich des Gewichts des Patienten** zur Sicherstellung der richtigen Dosis
- Befolgen der korrekten Handhabung** von Zolgensma
- Die **Zolgensma-Infusion** wurde als **einmalige intravenöse Infusion** über etwa 60 Minuten verabreicht

### Nach der Infusion

- Fortsetzen der **Kortikosteroid-Behandlung für mindestens 2 Monate, Absetzen der Behandlung** erst, wenn **AST und ALT weniger als 2x ULN** betragen und alle **anderen Werte im Normalbereich** liegen
- Enge und regelmäßige Überwachung (klinisch und labortechnisch)** des Patientenverlaufs für **mindestens 3 Monate**
- Unverzögliche Beurteilung** von Patienten mit sich **verschlechternden Leberfunktionstests und/oder Anzeichen oder Symptomen einer akuten Infektion**
- Sofortige Konsultation** eines pädiatrischen Gastroenterologen oder Hepatologen, falls **kein ausreichendes Ansprechen auf Kortikosteroide** oder bei **Verdacht auf eine Leberschädigung**
- Konsultation** Facharzt bei **Verdacht auf TMA**

Bitte beachten Sie, dass die Warnhinweise und Vorsichtsmaßnahmen für Zolgensma nicht auf die in diesem Leitfaden genannten beschränkt sind.

Entnehmen Sie bitte die vollständigen Sicherheits- und Verschreibungshinweise der Fachinformation.

## Notizen

## Meldung von Nebenwirkungen

Die Meldung des Verdachts auf Nebenwirkungen nach der Zulassung ist von großer Wichtigkeit. Sie ermöglicht eine kontinuierliche Überwachung des Nutzen-Risiko-Verhältnisses des Arzneimittels. Angehörige von Gesundheitsberufen sind aufgefordert, jeden Verdachtsfall einer Nebenwirkung dem Bundesamt für Sicherheit im Gesundheitswesen (BASG) anzuzeigen. Eine Meldung kann auch direkt an die Novartis Pharma GmbH erfolgen.

### Bundesamt für Sicherheit im Gesundheitswesen

Traisengasse 5, 1200 Wien  
Österreich

**Fax:** +43 (0) 50 555 36207

**Website:** [www.basg.gv.at](http://www.basg.gv.at)

oder

**Novartis Pharma GmbH  
Pharmakovigilanz**

**Telefon:** +43 1 866570

Dieser Leitfaden für Ärzte sowie alle behördlich genehmigten Produktinformationen sind zum Download auf der Webseite <https://www.fachkreise.novartis.at/em/zolgensma> verfügbar. Gedruckte Exemplare können über Genetherapies Österreich bestellt werden.



### Genetherapies Österreich InfoService

**E-Mail:** [genetherapies.novartis@novartis.com](mailto:genetherapies.novartis@novartis.com)

Telefon: +43 1 866570

### Novartis Pharma GmbH

Jakov-Lind-Straße 5, Top 3.05  
A-1020 Vienna  
Austria

