Министерство здравоохранения
Российской Федерации

ФЕДЕРАЛЬНАЯ СЛУЖБА ПО НАДЗОРУ
В СФЕРЕ ЗДРАВООХРАНЕНИЯ
(РОСЗДРАВНАДЗОР)

РУКОВОДИТЕЛЬ

Славянская пл. 4, стр. 1, Москва, 109012
Телефон: (499) 578 02 20; (499) 578 06 70; (495) 698 45 38
www.roszdravnadzor.gov.ru

2645001

22.10.2026 № 01и-1252/26

На № _____ от _____

Субъекты обращения
лекарственных средств

Об образовательных материалах
по безопасному применению
лекарственного препарата
Золгенсма® (онасемногеи абепарвовек)

Федеральная служба по надзору в сфере здравоохранения доводит до сведения субъектов обращения лекарственных средств образовательные материалы для специалистов системы здравоохранения и пациентов, разработанные ООО «Новартис Фарма» в качестве дополнительных мер минимизации рисков, связанных с применением лекарственного препарата Золгенсма® (онасемногеи абепарвовек).

Приложения: 1. Руководство для медицинских работников на 11 л. в 1 экз.
2. Информация для лиц, осуществляющих уход за пациентами, которым назначен препарат Золгенсма®, на 17 л. в 1 экз.

А.В. Самойлова

NOVARTIS

Руководство для медицинских работников

по минимизации рисков, связанных с применением препарата **Золгенсма®▼** (онасемноген абепарвовек)

Данное руководство разработано в целях поддержки медицинских работников, которые будут назначать, выдавать и применять препарат Золгенсма.

Цели данного руководства: предоставить информацию по ключевым аспектам безопасности, связанным с развитием гепатотоксичности, тромбоцитопении и тромботической микроангиопатии при применении препарата Золгенсма, а также помочь снизить возможные риски до, во время и после лечения. Руководство следует использовать вместе с Общей характеристикой лекарственного препарата (ОХЛП).

Препарат Золгенсма® показан для применения у пациентов со спинальной мышечной атрофией (СМА) с биаллельной мутацией в гене SMN1.

Лечение препаратом Золгенсма необходимо проводить в клинических центрах под наблюдением врача, имеющего опыт в лечении пациентов со СМА.

▼ Данный лекарственный препарат подлежит дополнительному мониторингу. Это позволит быстро выявлять новую информацию по безопасности. Работников сферы здравоохранения просят сообщать обо всех нежелательных реакциях, предположительно связанных с данным лекарственным препаратом.

Если у Вас возникли какие-либо **дополнительные вопросы** в отношении препарата **Золгенсма**, обратитесь к представителю компании «Новартис»

СМА — спинальная мышечная атрофия; SMN — белок «выживаемости двигательных нейронов»; ОХЛП — общая характеристика лекарственного препарата.

В помощь практикующему врачу. Издано в рамках Плана управления рисками. Не является рекламным материалом. Перед назначением препарата, пожалуйста, ознакомьтесь с общей характеристикой лекарственного препарата

Благодарим Вас за то, что уделили время для чтения данного руководства. Этот документ был составлен для того, чтобы помочь снизить возможные риски перед началом лечения препаратом Золгенсма, во время инфузии и после инфузии, предоставив информацию о следующих аспектах безопасности, требующих особого внимания:

- **Гепатотоксичность**
- **Тромбоцитопения**
- **Тромботическая микроангиопатия (ТМА)**

Если у Вас возникли **какие-либо вопросы или сомнения**, касающиеся данного препарата, пожалуйста, ознакомьтесь с ОХЛП или обратитесь к представителям компании «Новартис».

Полезные контакты

ОХЛП — общая характеристика лекарственного препарата.

В помощь практикующему врачу. Издано в рамках Плана управления рисками. Не является рекламным материалом. Перед назначением препарата, пожалуйста, ознакомьтесь с общей характеристикой лекарственного препарата

Какая информация содержится в данном руководстве?

Информация о возможных рисках, связанных с применением препарата Золгенсма 4

- Гепатотоксичность 4
- Тромбоцитопения 4
- Тромботическая микроангиопатия 4

Снижение возможных рисков, связанных с применением препарата Золгенсма 5

1. До введения препарата 5
2. Во время инфузии 8
3. После инфузии 9

График проведения контрольных анализов крови 12

Итоговый контрольный перечень 15

В помощь практикующему врачу. Издано в рамках Плана управления рисками. Не является рекламным материалом. Перед назначением препарата, пожалуйста, ознакомьтесь с общей характеристикой лекарственного препарата

Информация о возможных рисках, связанных с применением препарата Золгенсма

Важная информация по безопасности

Ниже описаны важные идентифицированные риски при применении препарата Золгенсма. Пожалуйста, ознакомьтесь с общей характеристикой лекарственного препарата, где представлена полная информация по безопасности, а также описаны особые указания и меры предосторожности при применении препарата Золгенсма

Гепатотоксичность

- Иммуноопосредованная гепатотоксичность после лечения препаратом Золгенсма обычно проявляется повышением уровня аланинаминотрансферазы (АЛТ) и/или аспартатаминотрансферазы (АСТ).
- При применении препарата Золгенсма описаны случаи развития острого тяжелого поражения печени и острой печеночной недостаточности, в том числе с летальным исходом. Обычно эти осложнения возникают в течение первых двух месяцев после лечения, несмотря на применение глюкокортикостероидов до и после инфузии.
- Гепатотоксичность может потребовать коррекции схемы иммуномодулирующей терапии, в том числе более длительного применения, увеличения дозы или более длительного периода постепенной отмены глюкокортикостероида

Тромбоцитопения

- В клинических исследованиях препарата Золгенсма наблюдали случаи непродолжительного снижения количества тромбоцитов, некоторые из которых соответствовали критериям тромбоцитопении. В большинстве случаев наименьшее количество тромбоцитов наблюдалось в первую неделю после инфузии препарата Золгенсма

Тромботическая микроангиопатия

- Препарат Золгенсма может повышать риск развития тромботической микроангиопатии (ТМА) в течение первых двух недель после введения препарата.
- ТМА представляет собой острое жизнеугрожающее состояние, которое характеризуется тромбоцитопенией, микроангиопатической гемолитической анемией и острым повреждением почек. Во время лечения препаратом Золгенсма наблюдались летальные исходы, связанные с этим осложнением. Сопутствующая активация иммунной системы (например, в связи с присоединением инфекции, проведением вакцинации) также была описана как возможный провоцирующий фактор.
- В случае появления у пациента клинических проявлений, симптомов или лабораторных изменений, указывающих на ТМА, необходимо немедленно проконсультироваться со специалистом, чтобы начать лечение ТМА в соответствии с клиническими показаниями.

Пожалуйста, ознакомьтесь с **дополнительной информацией** об особых указаниях и мерах предосторожности при применении препарата Золгенсма в разделе 4.4 ОХЛП

Снижение возможных рисков, связанных с применением препарата Золгенсма

1 До введения препарата

Проинформируйте лиц, осуществляющих уход за пациентами, об основных рисках, связанных с применением препарата Золгенсма, признаках и симптомах, включая, помимо прочего, ТМА, печеночную недостаточность и тромбоцитопению.

Анализы крови

Образование антител к аденоассоциированному вирусу 9 серотипа (AAV9) может наблюдаться на фоне естественного воздействия вируса. **Перед введением препарата у пациентов необходимо провести тестирование на определение содержания антител к AAV9 с использованием соответствующего валидированного метода исследования.**

На сегодняшний день нет данных о безопасности и эффективности применения препарата Золгенсма у пациентов с титром анти-AAV9 антител выше 1:50. Повторное тестирование может быть выполнено, если титр антител к AAV9 превышает 1:50.

Перед применением препарата Золгенсма необходимо провести исходные лабораторные исследования, включая, помимо прочих, следующие:

- оценка функции печени: АЛТ, АСТ, общий билирубин, альбумин, протромбиновое время, активированное частичное тромбопластиновое время (АЧТВ) и международное нормализованное отношение (МНО);
- оценка концентрации креатинина;
- клинический анализ крови (включая концентрацию гемоглобина и количество тромбоцитов);
- тест на тропонин I.

Регулярный контроль показателей крови необходимо проводить в течение по меньшей мере 3 месяцев после инфузии препарата Золгенсма. Подробный график лабораторного мониторинга приведен на страницах 12-14 данного руководства.

Проинформируйте лиц, осуществляющих уход за пациентами, о необходимости регулярного проведения анализа крови.

Лица, осуществляющие уход за пациентами, должны быть проинформированы о необходимости выполнения анализов крови в течение как минимум 3 месяцев после лечения препаратом Золгенсма. Соблюдение графика мониторинга анализов крови важно для достижения наилучших результатов лечения пациента. Даты и время проведения анализов крови следует согласовать и запланировать до начала лечения.

AAV9 — аденоассоциированный вирус 9 серотипа; АЛТ — аланинаминотрансфераза; АСТ — аспартатаминотрансфераза; МНО — международное нормализованное отношение; АЧТВ — активированное частичное тромбопластиновое время; ТМА — тромботическая микроангиопатия.

Применение глюкокортикостероидов

После введения препарата Золгенсма развивается иммунный ответ на капсид вируса AAV9, который вызывает следующие изменения:

- Повышение уровня печеночных аминотрансфераз
- Повышение уровня тропонина
- Снижение количества тромбоцитов

Чтобы ослабить иммунный ответ, рекомендуется иммуномодулирующая терапия глюкокортикостероидами.

Применение глюкокортикостероидов рекомендуется начать за 24 часа до инфузии препарата Золгенсма. Применение препарата рекомендуется проводить по следующей начальной схеме:

Преднизолон внутрь 1 мг/кг/сутки (или в эквивалентной дозе, если используется другой глюкокортикостероид).

Проинформируйте лиц, осуществляющих уход за пациентами, о важности применения глюкокортикостероидов.

Проинформируйте законных представителей и лиц, осуществляющих уход за пациентами, о важности немедленного сообщения врачу в случае любого эпизода рвоты у пациента, чтобы убедиться, что пациент получает необходимую дозу глюкокортикостероида.

Общее состояние здоровья

Ввиду повышенного риска развития системного иммунного ответа, включая тяжелую степень, рекомендуется проводить лечение пациентов только в стабильном клиническом состоянии по общему состоянию здоровья, в том числе с достаточным уровнем гидратации, оптимальным нутритивным статусом и при отсутствии инфекционных изменений.

AAV9 — аденоассоциированный вирус 9 серотипа.

Проинформируйте лиц, осуществляющих уход за пациентами, о необходимости уделять особое внимание профилактике, контролю и лечению инфекционных заболеваний до и после инфузии препарата Золгенсма.

Лица, осуществляющие уход за пациентами должны:

- быть проинформированы о признаках и симптомах, указывающих на развитие инфекционного заболевания. Если у пациента появляются любые признаки и симптомы, они должны связываться с Вами немедленно;
- содействовать в профилактике инфекций, исключая возникновение ситуаций, которые могут повышать риск инфицирования пациента, например, соблюдать гигиенические меры (мыть и обрабатывать руки), прикрывать рот при кашле/чихании и ограничить возможные контакты;
- быть проинформированы о возможном риске развития инфекции после процедуры обрезания; следует рекомендовать проводить данную процедуру в медицинском учреждении для минимизации риска развития инфекций.

В случае возникновения острых или хронических неконтролируемых активных инфекций терапию следует отложить вплоть до разрешения инфекционного заболевания и стабилизации клинического состояния пациента

Календарь профилактических прививок

- До введения препарата следует рассмотреть календарь проведения профилактических прививок пациента.
- Если это возможно, следует скорректировать план вакцинации с учетом сопутствующего применения глюкокортикостероида до и после инфузии препарата Золгенсма.
- Рекомендована сезонная вакцинация для профилактики инфекции респираторно-синцитиальным вирусом (RSV), которую следует провести вовремя. Пациентам, получающим терапию глюкокортикостероидами в иммуносупрессивных дозах, нельзя вводить живые вакцины, такие как вакцины для профилактики кори, эпидемического паротита и краснухи, а также ветряной оспы.

Масса тела

Препарат Золгенсма вводят пациентам в номинальной дозе $1{,}1 \times 10^{14}$ вг/кг. Общий объем препарата Золгенсма, который вводят пациенту, определяют на основании массы тела пациента. Перед введением препарата пациента необходимо взвесить, чтобы рассчитать правильную дозу препарата.

MMR — корь, свинка и краснуха; РСВ — респираторно-синцитиальный вирус.

2 Во время инфузии

Общее состояние здоровья

Проверьте, позволяет ли общее состояние здоровья пациента проводить инфузию (например, достаточны ли уровень гидратации и нутритивный статус, отсутствует ли инфекция), или ее следует отложить.
В случае острых или хронических неконтролируемых активных инфекций лечение следует отложить до разрешения инфекции и стабилизации клинического состояния пациента.

Терапию нельзя начинать при наличии активных инфекционных заболеваний, как в острой форме (например, острые респираторные инфекции или острый гепатит), так и неконтролируемых хронических инфекционных заболеваний (например, хронический активный гепатит В), пока инфекционное заболевание не разрешится. Если у пациента наблюдаются любые признаки или симптомы, свидетельствующие об инфекционном заболевании, терапию следует отложить.

Масса тела пациента

Расчет дозы препарата Золгенсма выполняется на основании массы тела.

Если между назначением терапии препаратом Золгенсма и инфузией происходит задержка, возможно, потребуется повторно взвесить пациента, чтобы обеспечить точный расчет дозы препарата Золгенсма.

Немедленно свяжитесь с представителями компании «Новартис», если предполагаете, что масса тела пациента изменилась с момента заказа дозы препарата Золгенсма для пациента

Применение глюкокортикостероидов

Убедитесь в том, что терапия глюкокортикостероидом была начата за 24 часа до инфузии препарата Золгенсма.

Для ослабления иммунного ответа на введение препарата пациент должен получить иммуномодулирующую терапию глюкокортикостероидом с приемом первой дозы за 24 часа до введения препарата Золгенсма.

В день введения препарата Золгенсма пациент должен продолжить терапию и принять следующую дозу глюкокортикостероида:

Преднизолон внутрь 1 мг/кг/сутки (или в эквивалентной дозе, если используется другой глюкокортикостероид).

Иммуномодулирующую терапию следует продолжать в течение 30 дней, включая день введения препарата Золгенсма, с последующим постепенным снижением дозы в течение как минимум 28 дней. Информация о применении глюкокортикостероида после инфузии препарата приведена на странице 9 и 10.

Инфузия препарата Золгенсма

Препарат Золгенсма вводят только однократно путем внутривенной инфузии.

Препарат Золгенсма следует вводить с помощью шприцевого инфузионного насоса путем однократной медленной инфузии в течение приблизительно 60 минут. Рекомендуется установка второго «запасного» катетера.

Препарат необходимо вводить только путем внутривенной инфузии.
Нельзя вводить препарат путем внутривенного струйного или болюсного введения.

После завершения инфузии систему необходимо промыть физиологическим раствором.

Намедленно свяжитесь с компанией «Новартис», если Вы заметили изменение массы тела пациента с момента введения препарата Золгенсма.

Препарат Золгенсма содержит генетически модифицированные вирусные частицы. В связи с этим Вы должны соблюдать соответствующие меры предосторожности при обращении с препаратом Золгенсма и во время его введения.

Подробные инструкции по приготовлению препарата, а также информация об обращении с препаратом, случайном его воздействии и указания по утилизации препарата Золгенсма (включая правильное обращение с биологическими жидкостями пациента) приведены в ОХЛП.

3 После инфузии

Применение глюкокортикостероидов после лечения препаратом Золгенсма

Терапию кортикостероидами следует продолжать не менее 2 месяцев и не снижать дозу до тех пор, пока уровень АСТ/АЛТ не снизятся до значения менее 2 × ВГН и все остальные показатели, например общий билирубин, не вернутся в пределы нормы.

Этот период может быть увеличен, если у пациента не будет наблюдаться достаточно быстрого снижения уровней печеночных ферментов, и будет продолжаться до тех пор, пока эти уровни не снизятся до приемлемых значений. В течение этого периода дозу глюкокортикостероида, которую будет принимать пациент, необходимо будет медленно снижать, пока лечение не будет полностью прекращено.

АЛТ — аланинаминотрансфераза; АСТ — аспартатаминотрансфераза; ВГН — верхняя граница нормы.

30 дней

Пациент должен принимать преднизолон в дозе 1 мг/кг/сутки (или в эквивалентной дозе в случае применения другого глюкокортикостероида) внутрь в течение 30 дней, включая день введения препарата Золгенсма. В конце периода терапии глюкокортикостероидом (общий 30-дневный период, включающий прием доз глюкокортикостероида до и после инфузии) у пациента необходимо выполнить оценку функции печени.

У пациентов с приемлемыми результатами обследования (нормальными результатами клинического осмотра, уровнем общего билирубина, а также уровнями АЛТ и АСТ ниже 2 × ВГН в конце общего 30-дневного периода):

Дозу преднизолона (или эквивалентную дозу другого препарата) следует постепенно снижать в течение 28 дней.

- Например: прием преднизолона внутрь в дозе 0,5 мг/кг/сутки в течение 2 недель, затем в дозе 0,25 мг/кг/сутки в течение 2 недель

2 месяца

У пациентов с нарушениями функции печени, выявленными в конце общего 30-дневного периода:

Применение преднизолона следует продолжить до тех пор, пока АСТ и АЛТ не снизятся до уровней ниже 2 × ВГН, и все остальные показатели не нормализуются, после этого следует постепенно снижать дозу в течение 28 дней или, при необходимости, в течение более длительного периода.

Если у пациента не наблюдается адекватного ответа на терапию глюкокортикостероидом в дозе, эквивалентной 1 мг/кг/сутки преднизолона при приеме внутрь, учитывая клиническое состояние пациента, необходимо незамедлительно проконсультироваться с детским гастроэнтерологом или гепатологом и скорректировать рекомендованный режим иммуномодулирующей терапии, включая повышение дозы, увеличение длительности терапии или длительности периода постепенного снижения дозы кортикостероида.

Регулярные анализы крови

Тщательный и регулярный мониторинг (клинический и лабораторный) состояния каждого пациента необходимо проводить в течение по меньшей мере 3 месяцев после инфузии препарата Золгенсма.

Мониторинг показателей функции печени (АСТ, АЛТ, общего билирубина) необходимо проводить с регулярными интервалами в течение как минимум 3 месяцев после инфузии препарата Золгенсма.

Анализы необходимо выполнять:

- еженедельно в первый месяц и в течение всего периода постепенной отмены глюкокортикостероида;
- каждые 2 недели в течение еще одного месяца;
- при наличии клинических показаний.

АЛТ — аланинаминотрансфераза; АСТ — аспартатаминотрансфераза; ВГН — верхняя граница нормы.

Пациентов с ухудшением функционального состояния печени и/или появлением признаков или симптомов острого заболевания необходимо своевременно обследовать и тщательно наблюдать.

При отсутствии у пациента ответа на терапию глюкокортикостероидом или при подозрении на повреждение печени необходимо проконсультироваться с детским гастроэнтерологом или гепатологом.

Количество тромбоцитов следует тщательно контролировать в течение первых 3-х недель после инфузии препарата и с регулярными интервалами в последующем.

После введения препарата Золгенсма количество тромбоцитов следует проверять:

- по меньшей мере еженедельно в первый месяц после введения;
- один раз в две недели во второй и третий месяцы после введения препарата, пока количество тромбоцитов не вернется к исходному значению.

При подозрении на развитие ТМА необходимо проконсультироваться со специалистом.

1 месяц

Временное выделение препарата

Возможно временное выделение препарата Золгенсма, главным образом с продуктами жизнедеятельности пациента, в течение не менее 1 месяца после введения препарата Золгенсма

Предоставьте лицам, осуществляющим уход за пациентом, информацию касательно утилизации биологических материалов, которым они должны будут следовать в течение по меньшей мере 1 месяца после введения ребенку препарата Золгенсма.

Надевайте перчатки при возможности непосредственного контакта с биологическими жидкостями или материалом.

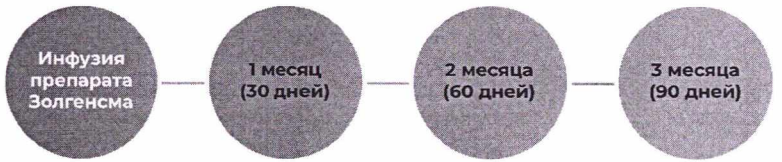
После этого **тщательно мойте руки** теплой водой с мылом или обрабатывайте спиртосодержащим антисептиком для рук.

Используйте двойные пластиковые пакеты для утилизации использованных подгузников и других отходов. Одноразовые подгузники можно выбрасывать вместе с бытовыми отходами.

ТМА — тромботическая микроангиопатия.

График проведения контрольных анализов крови:

1-й месяц после введения препарата Золгенсма (30 дней)

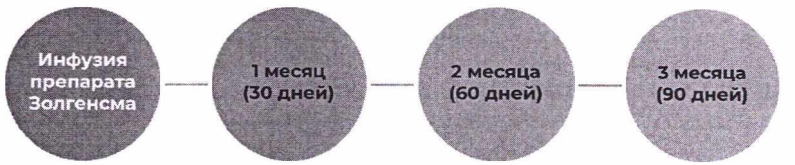


Анализы крови

В течение первого месяца после введения препарата Золгенсма пациенту необходимо будет **еженедельно выполнять анализы крови для оценки функции печени и количества тромбоцитов в крови.** Для сверки с графиком проведения контрольных анализов крови можно использовать приведенную ниже таблицу.

Количество недель после введения препарата Золгенсма	Анализы крови
Неделя 1	☐ **Показатели функции печени** ☐ **Количество тромбоцитов**
Неделя 2	☐ **Показатели функции печени** ☐ **Количество тромбоцитов**
Неделя 3	☐ **Показатели функции печени** ☐ **Количество тромбоцитов**
Неделя 4	☐ **Показатели функции печени** ☐ **Количество тромбоцитов**

2-й месяц после введения препарата Золгенсма (60 дней)

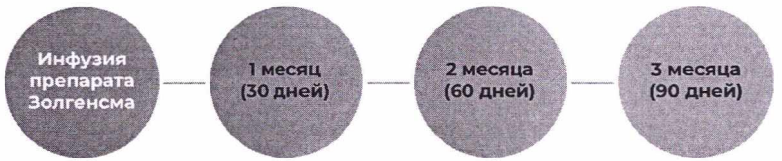


Анализы крови

В течение второго месяца после введения препарата Золгенсма и в течение всего периода постепенной отмены глюкокортикостероида пациенту необходимо будет **еженедельно выполнять анализы крови для оценки функционального состояния печени. Количество тромбоцитов в крови необходимо будет контролировать один раз в две недели**, пока количество тромбоцитов не вернется к исходному значению. Для сверки с графиком проведения контрольных анализов крови можно использовать приведенную ниже таблицу:

Количество недель после введения препарата Золгенсма	Анализы крови
Неделя 5	☐ **Показатели функции печени**
Неделя 6	☐ **Показатели функции печени** ☐ **Количество тромбоцитов (если не достигнут исходный уровень)**
Неделя 7	☐ **Показатели функции печени**
Неделя 8	☐ **Показатели функции печени** ☐ **Количество тромбоцитов (если не достигнут исходный уровень)**

3-й месяц после введения препарата Золгенсма (90 дней)



Анализы крови

В течение третьего месяца после введения препарата Золгенсма пациенту необходимо будет **регулярно выполнять анализы крови для оценки функционального состояния печени и количества тромбоцитов в крови** (пока количество тромбоцитов не вернется к исходному значению). Для сверки с графиком проведения контрольных анализов крови можно использовать приведенную ниже таблицу:

Количество недель после введения препарата Золгенсма	Анализы крови
Неделя 9	☐ **Показатели функции печени (для пациентов, у которых показатели функции печени после лечения не вернулись к исходному уровню, или пациентов в период постепенной отмены кортикостероида)**
Неделя 10	☐ **Показатели функции печени** ☐ **Количество тромбоцитов (если не достигнут исходный уровень)**
Неделя 11	☐ **Показатели функции печени (для пациентов, у которых показатели функции печени после лечения не вернулись к исходному уровню, или пациентов в период постепенной отмены кортикостероида)**
Неделя 12	☐ **Показатели функции печени** ☐ **Количество тромбоцитов (если не достигнут исходный уровень)**

После 3-го месяца дополнительные анализы крови и мониторинг могут потребоваться в определенных ситуациях, описанных ниже:

- **Мониторинг показателей функционального состояния печени необходимо продолжать еженедельно вплоть до окончания периода отмены глюкокортикостероида и затем проводить при наличии клинических показаний;**
- **Мониторинг количества тромбоцитов следует продолжать с частотой один раз в 2 недели вплоть до возвращения к исходному значению.**

Итоговый контрольный перечень

Ниже представлен итоговый контрольный перечень, содержащий описание действий, которые следует предпринимать до, во время и после инфузии препарата Золгенсма, и которые помогают снизить возможные риски, связанные с терапией препаратом Золгенсма:

До введения препарата

- ☐ **Проинформируйте лиц, осуществляющих уход за пациентами, о следующем:**
  - ☐ **Основные риски, связанные с применением препарата Золгенсма, и их признаки и симптомы, включая гепатотоксичность, тромбоцитопению и ТМА**
  - ☐ **Практические советы по утилизации биологических материалов. Необходимость в регулярном выполнении анализов крови**
  - ☐ **Важность применения глюкокортикостероидов**
  - ☐ **Необходимость уделять особое внимание профилактике, контролю и лечению инфекционных заболеваний до и после введения препарата Золгенсма**
- ☐ **Выполнение анализов крови, в том числе анализа на наличие антител к AAV9** для установления исходных уровней
- ☐ **Назначение дозы глюкокортикостероида за 24 часа до введения препарата Золгенсма** для ослабления иммунного ответа
- ☐ **Оценка плана вакцинации** для принятия решения о необходимости его коррекции
- ☐ **Оценка общего состояния здоровья пациента,** поскольку при наличии признаков или симптомов, свидетельствующих об инфекционном заболевании, терапию необходимо отложить
- ☐ **Измерение массы тела пациента** для расчета правильной дозы препарата Золгенсма

Во время инфузии

- ☐ **Оцените общее состояние пациента,** чтобы убедиться, что оно позволяет выполнить инфузию препарата (например, разрешились инфекционные заболевания) или что необходимо отложить введение препарата
- ☐ **Убедитесь, что пациент принял начальную дозу глюкокортикостероида за 24 часа до инфузии препарата Золгенсма,** и дайте следующую дозу для ослабления иммунного ответа
- ☐ **Измерение массы тела пациента** для расчета правильной дозы препарата Золгенсма
- ☐ **Инфузия препарата Золгенсма** проводится только один раз
- ☐ Необходимо соблюдать **правила надлежащего обращения с препаратом Золгенсма**

AAV9 — аденоассоциированный вирус серотипа 9; ТМА — тромботическая микроангиопатия.

После лечения

- ☐ Терапию **кортикостероидами** следует **продолжать не менее 2 месяцев; дозу не следует снижать до тех пор, пока уровень АСТ/АЛТ не достигнет значения менее 2 × ВГН и все остальные показатели, например общий билирубин, не вернутся в нормы.**
- ☐ **Тщательный и регулярный мониторинг (клинический и лабораторный) состояния каждого пациента необходимо проводить в течение по меньшей мере 3 месяцев**
- ☐ **Своевременное обследование пациентов с ухудшением функционального состояния печени и/или появлением признаков или симптомов острого заболевания**
- ☐ **При отсутствии у пациента адекватного ответа на терапию глюкокортикостероидом или при подозрении на повреждение печени необходимо проконсультироваться с детским гастроэнтерологом или гепатологом**
- ☐ **При подозрении на развитие ТМА необходимо проконсультироваться со специалистом**



Пожалуйста, ознакомьтесь с ОХЛП, где представлена полная информация по безопасности и указания по применению препарата, а также приведены особые указания и меры предосторожности при использовании препарата Золгенсма

АСТ — аспартатаминотрансфераза; ОХЛП — общая характеристика лекарственного препарата; ТМА — тромботическая микроангиопатия; ВГН — верхняя граница нормы.

Для заметок

Золгенсма®

Важно! Перед назначением препарата ознакомьтесь с полной общей характеристикой лекарственного препарата, доступной на электронных ресурсах: https://www.novartis.com/ru-ru/about/products (дата доступа 14.09.2026), https://lk.regmed.ru/Register/EAEU_SmPC (дата доступа 14.09.2026).

Форма выпуска

Раствор для инфузий: в 1 мл онасемноген абепарвовека содержится 2,0 × 10^{13} векторных геномов (вг) (номинальная концентрация). Два флакона размером 5,5 мл или 8,3 мл.

Показания к применению

Препарат Золгенсма® показан для применения у пациентов со спинальной мышечной атрофией (СМА) с биаллельной мутацией в гене SMN1.

Дозы и способ применения

Инфузия препарата должна выполняться только медицинским специалистом. Пациенты не должны получать повторную инфузию препарата Золгенсма®. Рекомендуемая доза составляет 1,1 × 10^{14} вектор-геномов (вг)/кг. Надлежащая доза и состав комплекта определяются массой тела пациента.

Применение препарата Золгенсма® у пациентов с инфекциями следует отложить до тех пор, пока инфекция не разрешится и состояние пациента не станет клинически стабильным.

Перед инфузией препарата Золгенсма® следует оценить содержание антител к AAV9, оценить исходно функцию печени (АЛТ, АСТ, общий билирубин, альбумин, протромбиновое время, АЧТВ, международное нормализованное отношение [МНО]), определить уровень креатинина, рекомендовано проведение общего анализа крови. После инфузии препарата Золгенсма® следует регулярно контролировать функцию печени и количество тромбоцитов. Все пациенты должны получать системные кортикостероиды до и после приема препарата Золгенсма®. Подробные указания приведены в полной общей характеристике лекарственного препарата.

Пациенты особых категорий

Нарушение функции почек. Безопасность и эффективность препарата Золгенсма® у пациентов с нарушениями функции почек не установлены.

Нарушения функции печени. При рассмотрении вопроса о применении препарата Золгенсма® у пациентов с нарушениями функции печени следует соблюдать осторожность.

Педиатрические пациенты. Безопасность и эффективность онасемноген абепарвовека у недоношенных новорожденных до достижения полного гестационного возраста не установлены.

Способ применения. Только для однократной внутривенной инфузии.

Подробные указания по приготовлению и внутривенной инфузии приведены в полной общей характеристике лекарственного препарата.

Противопоказания. Гиперчувствительность к онасемноген абепарвовеку или к любому из вспомогательных веществ.

Особые указания и меры предосторожности

• СМА поздней стадии. У пациентов с прогрессирующей СМА, жизнь которых поддерживается за счет постоянной ИВЛ и которые не набирают вес, соотношение пользы и риска, связанных с применением препарата Золгенсма®, не установлено.
• Гепатотоксичность. Введение AAV-вектора может приводить к повышению активности аминотрансфераз, которое может быть серьезным. Сообщалось о случаях острой печеночной недостаточности с летальным исходом. До и после инфузии препарата Золгенсма® всем пациентам следует вводить системный кортикостероид. Функцию печени следует оценить исходно до инфузии и наблюдать за ней в течение по крайней мере 3 месяцев после инфузии и в любых других случаях при наличии клинических показаний. При подозрении на поражение печени рекомендуется проведение дальнейшего обследования (например, определение уровня альбумина, протромбинового времени, АЧТВ и МНО). Риски и пользу, связанные с применением препарата Золгенсма®, следует тщательно сопоставить при принятии решения о применении препарата у пациентов с нарушением функции печени. • Системный иммунный ответ. В связи с повышенным риском развития серьезного системного иммунного ответа перед инфузией препарата Золгенсма® рекомендуется, чтобы общее состояние здоровья пациентов было клинически стабильным.
• Иммуногенность. Наличие антител к AAV9 у пациента следует определить до инфузии препарата Золгенсма®. • Тромбоцитопения Число тромбоцитов следует определить до инфузии препарата Золгенсма® и периодически определять после инфузии. • Тромботическая микроангиопатия (ТМА) Если у пациента присутствуют клинические признаки, симптомы и (или) лабораторные нарушения, характерные для ТМА, следует немедленно проконсультироваться с детским гематологом и (или) детским нефрологом для назначения лечения ТМА в зависимости от клинических показаний. • Тропонин-I. При наличии клинических показаний следует рассмотреть возможность проведения обследования сердца и при необходимости проконсультироваться с кардиологом.
• Теоретический риск онкогенности. Существует теоретический риск онкогенности по причине интеграции ДНК вектора AAV в геном.

Нежелательные лекарственные реакции

Очень часто *(≥1/10)*: повышение уровня печеночных ферментов.

Часто *(≥1/100, но <1/10)*: тромбоцитопения, рвота, гепатотоксичность, пирексия, повышение концентрации тропонина.

Нечасто *(≥1/1000, но <1/100)*: тромботическая микроангиопатия, острая печеночная недостаточность, инфузионные реакции.

Редко *(≥1/10000, но <1/1000)*: анафилактические реакции.

Взаимодействия. Исследования по изучению взаимодействия с другими лекарственными препаратами не проводились.

Условия отпуска. По рецепту.

Новартис Фарма АГ, Лихтштрассе 35, 4056 Базель, Швейцария

Для сообщения о нежелательных явлениях свяжитесь с отделом по фармаконадзору группы компаний «Новартис»:

ООО «Новартис Фарма» в Российской Федерации:
Адрес: 125315, г. Москва, Ленинградский проспект, д. 70. Телефон: +7 (495) 967-12-70, факс: +7 (495) 967-12-68.
Электронная почта: drug.safety_russia@novartis.com

Представительство АО «Новартис Фарма Сервисес АГ»
(Швейцарская Конфедерация) в Республике Беларусь: 220069, г. Минск, пр-т Дзержинского, 5, пом.3, офис 3-1, Тел.: +37517 360 03 65
Электронная почта: drugsafety.cis@novartis.com

ТОО «Новартис Казахстан» в Республике Казахстан:
Адрес: 050022, г. Алматы, ул. Курмангазы, 95. Телефон: +7 (727) 258-24-47
Электронная почта: drugsafety.cis@novartis.com

Сообщения о нежелательных реакциях:

- В случае возникновения любых нежелательных реакций необходимо сообщить о них врачу.
- Это касается в том числе и возможных нежелательных реакций, не перечисленных в ОХЛП и ЛВ.
- Можно также уведомить о возникновении нежелательных реакций местные уполномоченные органы:

Российская Федерация
Федеральная служба по надзору в сфере здравоохранения. Адрес: 109012, г. Москва, Славянская площадь, д. 4, стр. 1. Телефон: +7 (800) 550-99-03
Электронная почта: npr@roszdravnadzor.gov.ru или pharm@roszdravnadzor.gov.ru
Сайт в информационно-телекоммуникационной сети «Интернет»:
https://www.roszdravnadzor.gov.ru

Республика Беларусь:
ГУ «Госфармнадзор» Адрес: 220030, г. Минск, ул. Мясникова, д. 32, пом. 2.
Телефон: +375 (17) 242-00-29, факс: +375 (17) 271-25-75
Электронная почта: pharm@gospharmnadzor.by
Сайт в информационно-телекоммуникационной сети «Интернет»:
https://gospharmnadzor.by

Республика Казахстан
РГП на ПХВ «Национальный центр экспертизы лекарственных средств и медицинских изделий» Комитета медицинского и фармацевтического контроля Министерства здравоохранения Республики Казахстан.
Адрес: 010000, г. Астана, ул. А.Иманова, 13, 4 этаж
Телефон: +7 (7172) 235_135
Электронная почта: farm@dari.kz
Сайт: www.ndda.kz

Материал подготовлен компанией ООО «Новартис Фарма».
Россия, 125315, г. Москва, Ленинградский пр-т., д. 70,
тел.: +7 (495) 967-12-70, факс: +7 (495) 967-12-68, www.novartis.ru
Код одобрения в Российской Федерации:
11788381/OnaAbe/A5/09.26/400/RMP
Код одобрения в Республике Беларусь:
BY/11787401/OnaAbe/PDF/10.26/0/RMP

NOVARTIS

В помощь практикующему врачу. Издано в рамках Плана управления рисками. Не является рекламным материалом.
Перед назначением препарата, пожалуйста, ознакомьтесь с общей характеристикой лекарственного препарата

NOVARTIS

Информация для лиц, осуществляющих уход за пациентами, которым назначен препарат Золгенсма®▼

(онасемноген абепарвовек)

Врач Вашего ребенка дал Вам этот буклет, потому что Вашему ребенку назначен препарат Золгенсма.

В данном буклете предоставлена информация, которая поможет Вам задать врачу Вашего ребенка вопросы, связанные с проводимым лечением. Ознакомьтесь также с листком-вкладышем по этому лекарственному препарату, который Вы получите.

▼Препарат Золгенсма подлежит дополнительному мониторингу с целью быстрого выявления новых нежелательных реакций. Если у Вашего ребенка возникнут любые нежелательные реакции, сообщите об этом лечащему врачу Вашего ребенка или другому медицинскому работнику. Это могут быть любые возможные нежелательные реакции, не перечисленные в данной брошюре или в листке-вкладыше.

Если у Вас возникнут какие-либо уточняющие вопросы или опасения, касающиеся препарата Золгенсма, обсудите их с лечащим врачом.

Представленная информация предназначена исключительно для ознакомительных целей и не заменяет обсуждения ситуации с врачом Вашего ребенка или медицинскими работниками, которые лечат Вашего ребенка. Информация относится к спинальной мышечной атрофии и предназначена для общего ознакомления.

Данная брошюра содержит полезную информацию по следующим вопросам:

- **Что такое СМА**
- **Общая информация о препарате Золгенсма и механизме действия**
- **Важная информация о безопасности и возможные нежелательные реакции после применения препарата Золгенсма**
- **Описание особенностей применения препарата Золгенсма**

Если у Вас возникнут какие-либо уточняющие вопросы или опасения, касающиеся этого лекарственного препарата, здоровья и благополучия Вашего ребенка, обсудите их с лечащим врачом Вашего ребенка, фармацевтом/другим медицинским работником.

Полезные контакты

СМА — спинальная мышечная атрофия

Представленная информация предназначена исключительно для ознакомительных целей и не заменяет обсуждения ситуации с врачом Вашего ребенка или медицинскими работниками, которые лечат Вашего ребенка. Информация относится к спинальной мышечной атрофии и предназначена для общего ознакомления.

Какая информация содержится в данной брошюре?

Информация о СМА 4

- Что такое СМА? 4
- Как классифицируется СМА? 5
- Каковы причины развития СМА? 6
- У кого развивается СМА? 7

Информация о препарате Золгенсма и механизме его действия 8

Информация о рисках, связанных с применением препарата Золгенсма. Важная информация о безопасности и возможные нежелательные реакции препарата Золгенсма 10

Особенности применения препарата Золгенсма 15

- До начала лечения 16
- День лечения 18
- После лечения 19

Когда следует обращаться за медицинской помощью? 25

Контактные данные врача 26

Местные ассоциации 27

Часто встречающиеся термины, которые следует знать 28
Определения терминов, встречающихся в данном руководстве

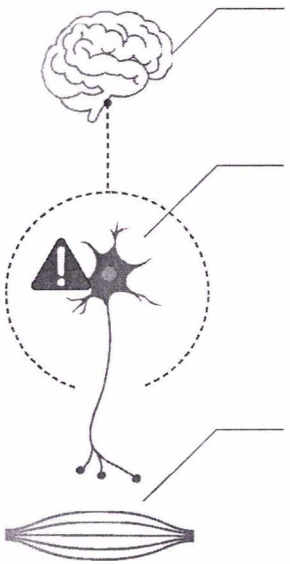
СМА — спинальная мышечная атрофия

Представленная информация предназначена исключительно для ознакомительных целей и не заменяет обсуждения ситуации с врачом Вашего ребенка или медицинскими работниками, которые лечат Вашего ребенка. Информация относится к спинальной мышечной атрофии и предназначена для общего ознакомления.

Информация о СМА

Что такое СМА?

Спинальная мышечная атрофия (СМА) — это редкое наследственное заболевание, при котором происходит утрата нервных клеток, что приводит к мышечной слабости. СМА развивается, поскольку особые нервные клетки, контролирующие движения мышц и называемые двигательными нейронами (мотонейронами), постепенно повреждаются и прекращают выполнять свою функцию.



Сигналы поступают из головного мозга

У людей со СМА сигналы для движения мышц формируются в головном мозге.

Нарушение функций двигательных нейронов

Однако из-за дефектного гена нервные клетки, называемые двигательными нейронами (мотонейронами), которые передают сигналы от спинного мозга к мышцам, перестают функционировать. Это означает, что сигналы, генерируемые в головном мозге, не передаются от спинного мозга к мышцам.

Ослабленные мышцы

Если мышцы не получают сигналы, заставляющие их двигаться, они истощаются (атрофируются) и становятся все более слабыми.

При СМА способности к мышлению, обучению и построению взаимоотношений не изменяются.

Каковы симптомы СМА?

Симптомы СМА могут отличаться у различных людей, в том числе и по степени тяжести. Заболевание может влиять на выполнение повседневных действий, включая дыхание, прием пищи, а также способность сидеть, ползать и ходить. Чем раньше появляются симптомы СМА, тем выше вероятность, что заболевание будет протекать более тяжело.

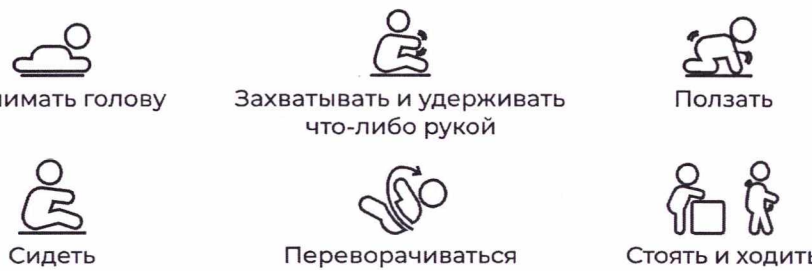
СМА — спинальная мышечная атрофия

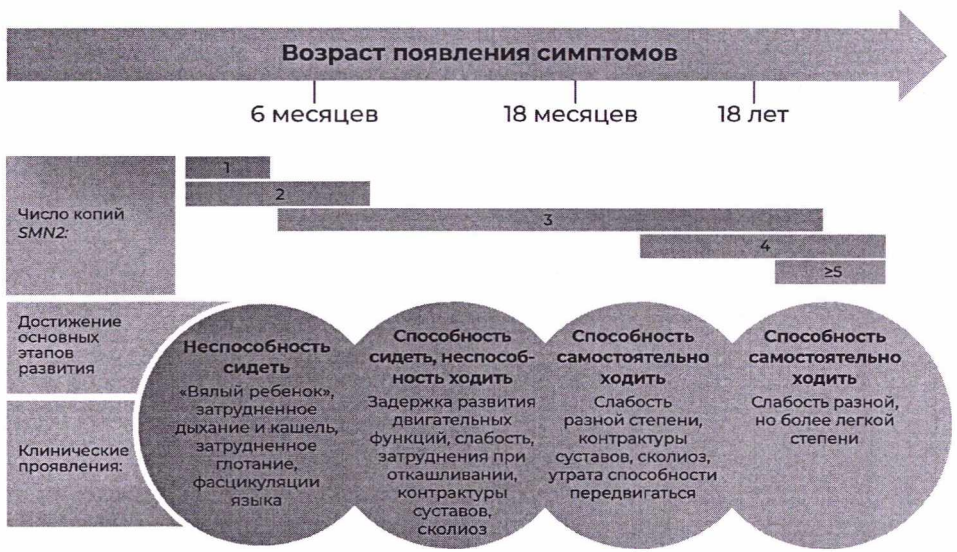
Представленная информация предназначена исключительно для ознакомительных целей и не заменяет обсуждения ситуации с врачом Вашего ребенка или медицинскими работниками, которые лечат Вашего ребенка. Информация относится к спинальной мышечной атрофии и предназначена для общего ознакомления.

Как классифицируется СМА?

На момент постановки диагноза СМА пациенты могут быть классифицированы на основании таких факторов, как количество копий гена *SMN2*, возраст манифестации заболевания и максимальных функциональных возможностей.

К основным этапам двигательного развития ребенка относятся следующие навыки:





Без вмешательства или лечения продолжительность жизни у детей с тяжелыми формами СМА сокращается. Однако при раннем медицинском вмешательстве и лечении дети с большей вероятностью достигают основных этапов развития двигательных функций, которые редко наблюдаются при естественном течении заболевания.

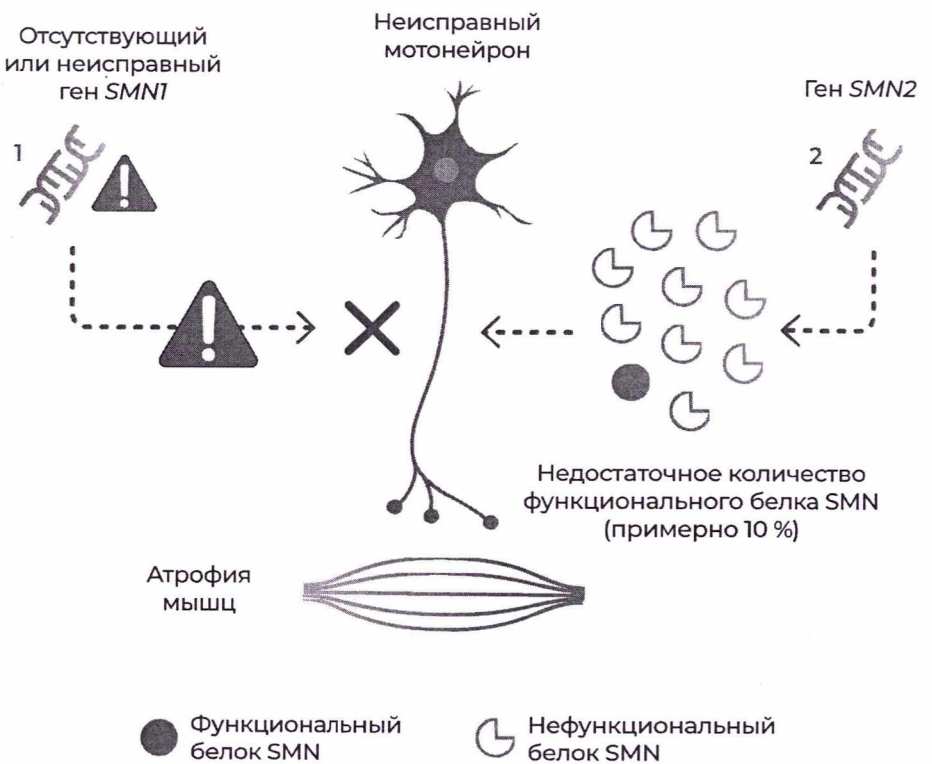
СМА — спинальная мышечная атрофия; SMN — белок «выживаемости двигательных нейронов».

Представленная информация предназначена исключительно для ознакомительных целей и не заменяет обсуждения ситуации с врачом Вашего ребенка или медицинскими работниками, которые лечат Вашего ребенка. Информация относится к спинальной мышечной атрофии и предназначена для общего ознакомления.

Каковы причины развития СМА?

Для нормальной работы мотонейронов требуется белок, называемый белком выживаемости мотонейронов (SMN). Без белка SMN мотонейроны в спинном мозге перестают работать, а мышцы становятся слабее. Белок SMN производится в организме из гена *SMN*.

При СМА основной ген *SMN*, известный как *SMN1*, неисправен или отсутствует. Существует второй ген *SMN*, известный как *SMN2*, который является «резервным», производит только небольшое количество белка SMN. В результате при СМА не синтезируется достаточное количество функционирующего белка SMN, и мотонейроны прекращают нормально функционировать, из-за чего мышцы становятся слабее.



СМА — спинальная мышечная атрофия; SMN — белок «выживаемости двигательных нейронов».

Представленная информация предназначена исключительно для ознакомительных целей и не заменяет обсуждения ситуации с врачом Вашего ребенка или медицинскими работниками, которые лечат Вашего ребенка. Информация относится к спинальной мышечной атрофии и предназначена для общего ознакомления.

У кого развивается СМА?

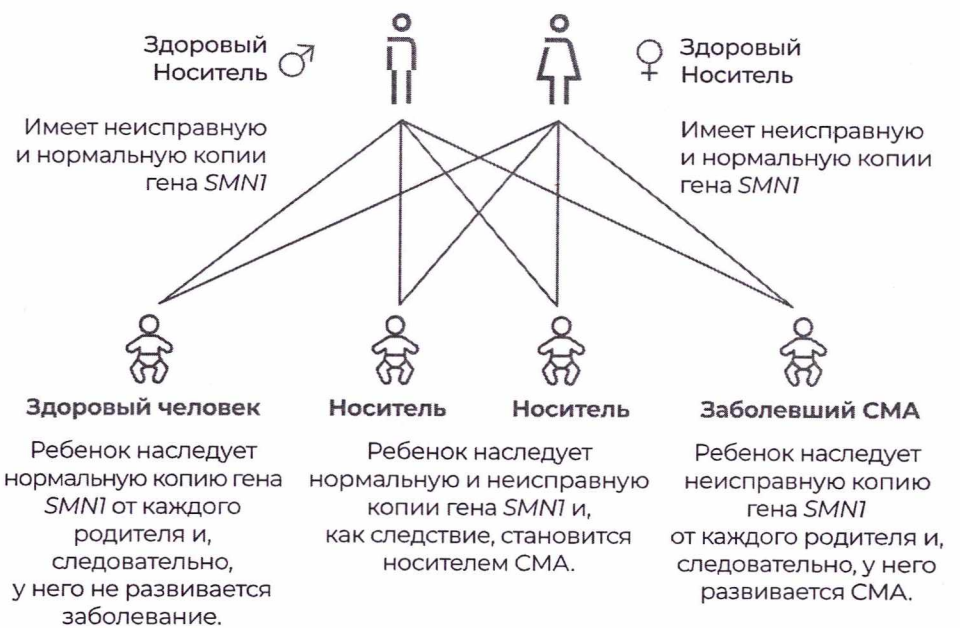
СМА обычно наследуется, хотя иногда это заболевание может развиться в результате случайной ошибки в гене *SMN1*.

Дети наследуют две копии гена *SMN1*, по одной копии от каждого родителя. Одна половина генетической информации ребенка поступает от матери, а вторая половина — от отца.

Люди с одной нормальной и одной неисправной копиями гена *SMN1* являются носителями, у них обычно отсутствуют признаки СМА. Если оба родителя являются носителями, вероятность того, что ребенок унаследует СМА и это заболевание разовьется у него, составляет 25%.

Носителями СМА являются примерно **1 на 50** человек.

СМА встречается примерно у **1 из 10 000-12 000** новорожденных детей, независимо от расовой принадлежности или пола



СМА — спинальная мышечная атрофия; SMN — белок «выживаемости двигательных нейронов».

Представленная информация предназначена исключительно для ознакомительных целей и не заменяет обсуждения ситуации с врачом Вашего ребенка или медицинскими работниками, которые лечат Вашего ребенка. Информация относится к спинальной мышечной атрофии и предназначена для общего ознакомления.

Информация о препарате Золгенсма и механизме его действия

Препарат Золгенсма применяется для лечения младенцев и детей со СМА. Препарат Золгенсма относится к варианту лечения, называемому «генная терапия».

Препарат Золгенсма состоит из модифицированного вируса AAV9, который содержит полностью функционирующую копию гена *SMN* (гена, который неисправен при СМА). Вирус AAV9 используется в качестве переносчика, который доставляет замещающий ген в организм и в клетки, где он необходим

1 В препарате Золгенсма ген *SMN* помещен внутрь измененного вируса (AAV9), который не способен вызвать заболевание у людей



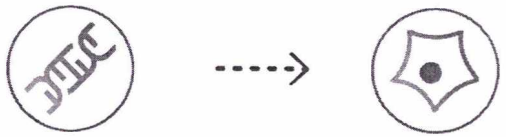
2 Препарат Золгенсма вводят ребенку внутривенно (в вену)



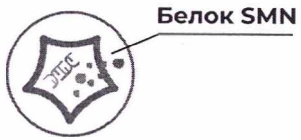
AAV — аденоассоциированный вирус; ДНК — дезоксирибонуклеиновая кислота; СМА — спинальная мышечная атрофия; SMN — белок «выживаемости двигательных нейронов».

Представленная информация предназначена исключительно для ознакомительных целей и не заменяет обсуждения ситуации с врачом Вашего ребенка или медицинскими работниками, которые лечат Вашего ребенка. Информация относится к спинальной мышечной атрофии и предназначена для общего ознакомления.

3 Измененный вирус, входящий в состав препарата Золгенсма, попадает в организм и доставляет ген *SMN* в клетки, в которых его присутствие необходимо



4 Препарат Золгенсма устраняет первопричину СМА, помогая организму вырабатывать достаточное количество белка SMN



Применение препарата Золгенсма при тяжелой СМА

Препарат Золгенсма позволяет сохранить двигательные нейроны, которые еще живы и способны к росту, но не восстанавливает погибшие нейроны. У детей с менее тяжелыми симптомами СМА в организме может быть достаточно живых двигательных нейронов, в связи с чем лечение препаратом Золгенсма принесет им пользу. У детей с тяжелыми проявлениями заболевания препарат Золгенсма может оказаться не столь эффективным.

СМА — спинальная мышечная атрофия; SMN — белок «выживаемости двигательных нейронов».

Представленная информация предназначена исключительно для ознакомительных целей и не заменяет обсуждения ситуации с врачом Вашего ребенка или медицинскими работниками, которые лечат Вашего ребенка. Информация относится к спинальной мышечной атрофии и предназначена для общего ознакомления.

Информация о рисках, связанных с применением препарата Золгенсма

Как и все лекарственные средства, препарат Золгенсма может вызывать нежелательные реакции, но они возникают не у всех пациентов.

Если у вашего ребенка возникнут любые нежелательные реакции, немедленно сообщите об этом лечащему врачу вашего ребенка или фармацевту/другому медицинскому работнику

Важная информация о безопасности и когда следует обращаться за медицинской помощью

Нарушения со стороны печени

Перед тем, как Вашему ребенку введут лекарственный препарат, сообщите лечащему врачу Вашего ребенка или другому медицинскому работнику, о любых нарушениях со стороны печени, которые у него имеются или были отмечены ранее. В некоторых случаях препарат Золгенсма может вызывать иммунную реакцию, которая может привести к повышению уровней печеночных ферментов (белков, присутствующих в организме) или к повреждению печени.

Повреждение печени может привести к серьезным последствиям, включая развитие печеночной недостаточности или летальный исход. Возможные признаки, на которые Вам следует обратить внимание после того, как ребенку введут этот лекарственный препарат, включают рвоту, желтуху (появление желтого окрашивания кожи или белков глаз) или снижение внимания ребенка. Немедленно сообщите лечащему врачу Вашего ребенка, если заметите, что у него появились любые симптомы, указывающие на возможное повреждение печени.

Нарушение свертывания крови

Препарат Золгенсма может повышать риск нарушения свертывания крови в мелких кровеносных сосудах (тромботическая микроангиопатия), что обычно отмечается в первые 2 недели после введения препарата Золгенсма. При этом образование сгустков крови может отрицательно повлиять на состояние почек у ребенка. Немедленно сообщите лечащему врачу, если заметите у ребенка такие признаки и симптомы, как склонность к образованию синяков, судороги или уменьшение выделения мочи.

Следует особенно внимательно наблюдать за возможным появлением перечисленных признаков и симптомов, поскольку нарушение свертывания крови (тромботическая микроангиопатия) - это серьезное состояние, которое при отсутствии лечения может представлять угрозу жизни.

Снижение количества тромбоцитов

Препарат Золгенсма может снижать количество тромбоцитов в крови (тромбоцитопения), обычно в первые 3 недели после введения препарата. Возможными признаками снижения количества тромбоцитов в крови, на которые следует обратить внимание после того, как Вашему ребенку введут препарат Золгенсма, являются необычные кровоподтеки или кровотечения.

Сообщите врачу, если заметите у ребенка кровоподтеки или кровотечения, сохраняющиеся дольше, чем обычно после травмы.

Перед введением препарата Золгенсма Вашему ребенку потребуется сделать анализы, чтобы оценить функцию печени, почек, количество клеток крови (в том числе эритроцитов и тромбоцитов), а также уровень тропонина I.

В течение не менее 3 месяцев после лечения Вашему ребенку нужно будет регулярно проводить анализы крови для оценки функции печени и отслеживания изменений количества тромбоцитов. В зависимости от полученных результатов и наличия ряда признаков и симптомов может потребоваться дополнительное обследование. Решение о длительности лабораторного контроля будет принимать лечащий врач Вашего ребенка.

Пожалуйста, ознакомьтесь с дополнительной информацией о препарате Золгенсма, приведенной в листке-вкладыше с информацией для пациента, выданной вместе с препаратом для Вашего ребенка. В случае возникновения любых вопросов, пожалуйста, обращайтесь к медицинским работникам, которые лечат Вашего ребенка.

Информация о рисках, связанных с применением препарата Золгенсма

(продолжение)

Как и все лекарственные средства, препарат Золгенсма может вызывать нежелательные реакции, но они возникают не у всех пациентов.

Если у вашего ребенка возникнут любые нежелательные реакции, немедленно сообщите об этом лечащему врачу вашего ребенка или фармацевту/другому медицинскому работнику

Аллергические реакции

Вашему ребенку нельзя вводить препарат Золгенсма, если у него имеется аллергия на любой компонент в составе препарата (компоненты перечислены в разделе 6 листка-вкладыша с информацией для пациента, выдаваемого вместе с этим препаратом)

Глюкокортикостероиды

На определенный период времени до и примерно в течение 2 месяцев или более после лечения препаратом Золгенсма Вашему ребенку также будут назначены глюкокортикостероиды (преднизолон или эквивалентный препарат). Продолжительность применения глюкокортикостероидов у ребенка после введения препарата Золгенсма будет определять лечащий врач Вашего ребенка в зависимости от полученных результатов анализа печеночных ферментов и других признаков и симптомов.

Глюкокортикостероиды помогут избежать возможного повышения уровней печеночных ферментов у Вашего ребенка в результате развития иммунной реакции на препарат Золгенсма. Дозу глюкокортикостероида, которую будет получать Ваш ребенок, определит врач в зависимости от массы тела ребенка. Сообщите врачу Вашего ребенка о любых эпизодах рвоты до или после введения препарата Золгенсма, чтобы избежать пропуска дозы глюкокортикостероида.

Во время применения глюкокортикостероида у ребенка могут развиться инфекции или другие обычные детские заболевания, которые могут потребовать применения определенных лекарственных препаратов. Перед началом применения любого другого лекарственного препарата или в случае возникновения любых вопросов, касающихся применения глюкокортикостероидов, обязательно проконсультируйтесь с лечащим врачом Вашего ребенка, медицинской сестрой или фармацевтом/другим медицинским работником.

Другие лекарственные препараты и препарат Золгенсма

Препарат Золгенсма вводится ребенку однократно. Сообщите лечащему врачу или медицинской сестре Вашего ребенка, если Ваш ребенок принимает, недавно принимал или может начать принимать какие-либо другие лекарственные препараты.

Инфекции

Чтобы предотвратить развитие инфекций до и после введения препарата Золгенсма, важно избегать ситуаций, которые могут повысить риск инфицирования Вашего ребенка. Вы и все, кто тесно контактирует с Вашим ребенком, можете способствовать предотвращению инфицирования, соблюдая правила гигиены рук, этикет при кашле/чихании и ограничивая возможные контакты.

Следует обязательно сообщить лечащему врачу Вашего ребенка, если **до** или **после** лечения препаратом Золгенсма Вы заметите у ребенка любые признаки и симптомы, указывающие на возможное развитие инфекционного заболевания, такие как:

- **Кашель**
- **Насморк**
- **Свистящее дыхание**
- **Боли и признаки воспаления горла**
- **Повышение температуры тела**
- **Чихание**

Информация о рисках, связанных с применением препарата Золгенсма
(продолжение)

Таким образом, следует немедленно обратиться за медицинской помощью, если у вашего ребенка появятся любые из перечисленных ниже признаков или симптомов:

Кровоподтеки или **кровотечения**, сохраняющиеся дольше, чем обычно после травмы, - возможные признаки снижения количества тромбоцитов в крови (тромбоцитопения).

Склонность к образованию кровоподтеков, судороги или **уменьшение выделения мочи** - эти признаки могут свидетельствовать о нарушении свертывания крови в мелких кровеносных сосудах (тромботическая микроангиопатия). Следует особенно внимательно наблюдать за возможным появлением перечисленных признаков и симптомов, поскольку нарушение свертывания крови при отсутствии лечения может представлять угрозу жизни.

Рвота, желтуха (желтушное окрашивание кожи или белков глаз) или **снижение внимания ребенка** - эти признаки могут указывать на возможные проблемы со стороны печени (в том числе на развитие печеночной недостаточности).

Кашель, свистящее дыхание, насморк, боль в горле или повышение температуры тела - могут свидетельствовать о развитии инфекционного заболевания (например, простуды, гриппа или бронхиолита).

Представленная информация предназначена исключительно для ознакомительных целей и не заменяет обсуждения ситуации с врачом Вашего ребенка или медицинскими работниками, которые лечат Вашего ребенка. Информация относится к спинальной мышечной атрофии и предназначена для общего ознакомления.

Особенности применения препарата Золгенсма

Этапы лечения, описанные на следующих страницах, помогут Вам и членам Вашей семьи понять, чего следует ожидать в каждый из указанных периодов

1. До начала лечения
2. День лечения
3. После лечения

Представленная информация предназначена исключительно для ознакомительных целей и не заменяет обсуждения ситуации с врачом Вашего ребенка или медицинскими работниками, которые лечат Вашего ребенка. Информация относится к спинальной мышечной атрофии и предназначена для общего ознакомления.

1 До начала лечения

Перед введением препарата Вашему ребенку потребуется провести анализы, чтобы проверить, подходит ли ему препарат Золгенсма.

Анализ на наличие антител к AAV9

Антитела синтезируются иммунной системой организма и помогают защищать его от болезней. Наличие определенных антител, а именно антител к вирусу AAV9, может привести к развитию у Вашего ребенка иммунной реакции на препарат Золгенсма. Чтобы принять решение, можно ли Вашему ребенку вводить препарат Золгенсма, перед началом лечения врач выполнит анализ на наличие у ребенка антител.

У Вашего ребенка может быть выявлено повышенное количество антител к AAV9. Если ребенок новорожденный, это могут быть антитела, переданные ему от матери во время беременности, и в этом случае через некоторое время после рождения повышенный уровень антител обычно снижается. Если у Вашего ребенка будет обнаружено повышенное количество антител к AAV9 по результатам первого анализа, через некоторое время нужно будет выполнить повторный анализ. Если у Вас возникнут какие-либо вопросы, пожалуйста, задайте их лечащему врачу Вашего ребенка.

Анализы крови

Перед началом лечения препаратом Золгенсма Вашему ребенку будут выполнены анализы крови для определения исходных значений следующих показателей:

- Показатели функции печени
- Показатели функции почек
- Количество клеток крови (в том числе эритроцитов и тромбоцитов)
- Уровень тропонина I

Результаты этих анализов помогут врачу отслеживать состояние Вашего ребенка после лечения препаратом Золгенсма.

AAV — аденоассоциированный вирус

Представленная информация предназначена исключительно для ознакомительных целей и не заменяет обсуждения ситуации с врачом Вашего ребенка или медицинскими работниками, которые лечат Вашего ребенка. Информация относится к спинальной мышечной атрофии и предназначена для общего ознакомления.

Глюкокортикостероиды

За 24 часа до введения препарата Золгенсма Вашему ребенку назначат глюкокортикостероид (преднизолон или эквивалентный препарат), чтобы предотвратить возможное повышение уровней печеночных ферментов.

Дозу глюкокортикостероида определит врач в зависимости от массы тела Вашего ребенка. Чтобы убедиться, что Ваш ребенок получил необходимую дозу глюкокортикостероида, сообщите лечащему врачу Вашего ребенка, медицинской сестре или другому медицинскому работнику, если перед введением препарата Золгенсма был эпизод рвоты.

Инфекции

Важно сразу сообщить лечащему врачу Вашего ребенка, медицинской сестре, фармацевту или другому медицинскому работнику в случае появления у Вашего ребенка до или после лечения препаратом Золгенсма симптомов, свидетельствующих о развитии инфекционного заболевания. Если у Вашего ребенка появятся любые признаки и симптомы, свидетельствующие о развитии инфекционного заболевания до начала лечения препаратом Золгенсма, инфузию препарата, возможно, придется отложить до того, как инфекционное заболевание разрешится. Если симптомы появятся у Вашего ребенка после введения препарата Золгенсма, это может привести к развитию осложнений, которые могут потребовать неотложного медицинского вмешательства.

Признаки возможного инфекционного заболевания перечислены на странице 13

Общее состояние здоровья

Перед началом лечения препаратом Золгенсма важно убедиться в том, что общее состояние здоровья Вашего ребенка является удовлетворительным; в противном случае лечение, возможно, придется отложить. Удовлетворительное состояние здоровья подразумевает отсутствие обезвоживания, хорошее питание и отсутствие любых инфекционных заболеваний в активной форме. Если у Вас имеются какие-либо опасения по поводу общего состояния здоровья Вашего ребенка перед началом лечения препаратом Золгенсма, проконсультируйтесь с врачом Вашего ребенка, медицинской сестрой, фармацевтом или другим медицинским работником.

Представленная информация предназначена исключительно для ознакомительных целей и не заменяет обсуждения ситуации с врачом Вашего ребенка или медицинскими работниками, которые лечат Вашего ребенка. Информация относится к спинальной мышечной атрофии и предназначена для общего ознакомления.

2 День лечения

Группа специалистов, занимающихся лечением Вашего ребенка, позаботится о том, чтобы Вы точно знали, чего ожидать в день лечения и как подготовиться.

Глюкокортикостероиды (например, преднизолон)

Первую дозу глюкокортикостероида (преднизолона или эквивалентного препарата) Ваш ребенок получит за 24 часа до начала лечения препаратом Золгенсма. Информация о применении глюкокортикостероида до начала лечения препаратом Золгенсма приведена на странице 17.

В день лечения Ваш ребенок должен принять внутрь вторую дозу глюкокортикостероида (преднизолона или эквивалентного препарата) в соответствии с назначением врача. Применение глюкокортикостероидов необходимо для предотвращения любого возможного повышения уровня печеночных ферментов и будет продолжено в течение определенного периода после лечения. Информация о применении глюкокортикостероида после лечения препаратом Золгенсма приведена на странице 21.

Чтобы убедиться, что Ваш ребенок получил необходимую дозу глюкокортикостероида, сообщите врачу Вашего ребенка, медицинской сестре или другому медицинскому работнику, если после приема глюкокортикостероида был эпизод рвоты.

Препарат Золгенсма будет введен Вашему ребенку только один раз

Инфузия препарата Золгенсма

Препарат Золгенсма будет введен Вашему ребенку путем однократной внутривенной инфузии. Эта процедура подразумевает введение специального катетера (пластиковой трубки) в одну из вен ребенка с использованием иглы. Также будет введен второй, «запасной» катетер на тот случай, если каким-либо образом заблокируется первый катетер. Процедуру инфузии будет проводить врач или медицинская сестра, прошедшая специальное обучение процедуре лечения пациентов со СМА. Инфузия будет продолжаться в течение приблизительно 60 минут.

Дозу препарата Золгенсма, которую получит Ваш ребенок, определит врач в зависимости от массы тела Вашего ребенка.

СМА — спинальная мышечная атрофия.

Представленная информация предназначена исключительно для ознакомительных целей и не заменяет обсуждения ситуации с врачом Вашего ребенка или медицинскими работниками, которые лечат Вашего ребенка. Информация относится к спинальной мышечной атрофии и предназначена для общего ознакомления.

3 После лечения

Решение о продолжительности госпитализации после введения препарата Золгенсма будет принимать лечащий врач Вашего ребенка. В случае возникновения любых вопросов поговорите с медицинскими работниками, которые лечат Вашего ребенка.

Возможные нежелательные реакции

Как и все лекарственные средства, этот препарат может вызывать нежелательные реакции, но они развиваются не у всех пациентов.

Таким образом, следует немедленно обратиться за медицинской помощью, если у вашего ребенка появятся любые из перечисленных ниже признаков или симптомов:

Кровоподтеки или **кровотечения**, сохраняющиеся дольше, чем обычно после травмы, - возможные признаки снижения количества тромбоцитов в крови (тромбоцитопения).

Склонность к образованию кровоподтеков, судороги или **уменьшение выделения мочи** - эти признаки могут свидетельствовать о нарушении свертывания крови в мелких кровеносных сосудах (тромботическая микроангиопатия). Следует особенно внимательно наблюдать за возможным появлением перечисленных признаков и симптомов, поскольку нарушение свертывания крови при отсутствии лечения может представлять угрозу жизни.

Рвота, желтуха (желтушное окрашивание кожи или белков глаз) или **снижение внимания ребенка** - эти признаки могут указывать на возможные проблемы со стороны печени (в том числе на развитие печеночной недостаточности).

Кашель, свистящее дыхание, насморк, боль в горле или повышение температуры тела - могут свидетельствовать о развитии инфекционного заболевания (например, простуды, гриппа или бронхиолита).

Представленная информация предназначена исключительно для ознакомительных целей и не заменяет обсуждения ситуации с врачом Вашего ребенка или медицинскими работниками, которые лечат Вашего ребенка. Информация относится к спинальной мышечной атрофии и предназначена для общего ознакомления.

3 После лечения (продолжение)

В случае возникновения у Вашего ребенка любой другой нежелательной реакции немедленно сообщите об этом лечащему врачу или другим медицинским работникам, которые лечат Вашего ребенка. Такие эффекты могут включать:

Очень частые (могут возникать более чем у 1 человека из 10)

- Повышение уровня печеночных ферментов, выявленное по результатам анализов крови

Частые (могут возникать у 1 человека из 10)

- Рвота
- Повышение температуры тела
- Повышение уровня тропонина I (белка сердечной мышцы), выявленное при анализе крови

Сообщение о нежелательных реакциях:
Если у Вашего ребенка возникнут любые нежелательные реакции, или если у Вас имеются опасения, что что-то идет не так, немедленно сообщите об этом лечащему врачу Вашего ребенка, медицинской сестре, фармацевту или другому медицинскому работнику.

К таким нежелательным реакциям относятся любые нежелательные реакции, как упомянутые, так и не упомянутые в этой брошюре или в листке-вкладыше с информацией для пациента, который прилагается к лекарственному препарату.

Вы также можете сообщить о любых возникших нежелательных реакциях непосредственно через национальную систему регистрации нежелательных реакций. Сообщая о нежелательных реакциях, Вы помогаете получить больше сведений о безопасности данного лекарственного препарата.

Применение глюкокортикостероидов после инфузии препарата Золгенсма

Ваш ребенок будет принимать глюкокортикостероид ежедневно в течение примерно 2 месяцев после введения препарата Золгенсма. Этот период может быть увеличен, если у Вашего ребенка не будет наблюдаться достаточно быстрого снижения уровня печеночных ферментов, и будет продолжаться до тех пор, пока их уровни не снизятся до приемлемых значений.
В течение этого времени дозу глюкокортикостероида, которую будет принимать Ваш ребенок, будут медленно снижать, пока лечение не будет полностью прекращено.

Медицинские работники, занимающиеся лечением Вашего ребенка, примут решение и объяснят Вам, когда и как можно будет прекратить это лечение. Чтобы убедиться, что Ваш ребенок не пропустил прием глюкокортикостероида, сообщите врачу о любых эпизодах рвоты после лечения препаратом Золгенсма.

Не прекращайте применение глюкокортикостероида без предварительной консультации с лечащим врачом Вашего ребенка, медсестрой, фармацевтом или другим медицинским работником.

Если у Вас имеются какие-либо вопросы, касающиеся применения глюкокортикостероида, проконсультируйтесь с лечащим врачом Вашего ребенка.

3 После лечения (продолжение)

Регулярные посещения врача для последующего наблюдения

После лечения препаратом Золгенсма Ваш ребенок будет продолжать находиться под регулярным наблюдением медицинских работников. Вашему ребенку потребуется посещать врача по мере необходимости, например, для общего контрольного обследования, в случае возникновения у ребенка каких-либо нежелательных реакций или при появлении у Вас каких- либо опасений или вопросов.

Вашему ребенку будет предоставлена соответствующая стандартам медицинская помощь, предусмотренная для пациентов со СМА, в том числе поддерживающее лечение. Важно обсудить с лечащим врачом, какая помощь будет продолжена Вашему ребенку.

Регулярные анализы крови

После лечения препаратом Золгенсма Вашему ребенку потребуется проведение регулярных анализов крови для контроля следующих показателей:

- Показатели функции печени - эти анализы будут выполнять в течение определенного периода после введения препарата для контроля повышения печеночных ферментов. Если после введения препарата Золгенсма у Вашего ребенка будет выявлено нарушение функции печени, или результаты анализов покажут наличие каких-либо признаков заболевания, лечащий врач выполнит необходимое обследование и будет тщательно наблюдать за состоянием Вашего ребенка.
- Количество тромбоцитов в крови и уровень тропонина I - эти анализы будут выполнять в течение определенного периода после лечения для контроля изменений количества тромбоцитов.

В зависимости от результатов этих анализов крови, а также при наличии других признаков и симптомов могут потребоваться дополнительные анализы. Важно точно соблюдать график выполнения анализов крови и немедленно сообщать медицинским работникам, которые лечат Вашего ребенка, о появлении у него любых признаков и симптомов после введения препарата.

СМА — спинальная мышечная атрофия.

Представленная информация предназначена исключительно для ознакомительных целей и не заменяет обсуждения ситуации с врачом Вашего ребенка или медицинскими работниками, которые лечат Вашего ребенка. Информация относится к спинальной мышечной атрофии и предназначена для общего ознакомления.

Выделение препарата с биологическими жидкостями ребенка

Некоторая часть действующего вещества препарата Золгенсма может выделяться с биологическими жидкостями Вашего ребенка после лечения. Вы и другие люди, ухаживающие за Вашим ребенком, должны тщательно соблюдать гигиену рук при уходе за ребенком в течение по меньшей мере 1 месяца после введения ребенку препарата Золгенсма.

Надевайте перчатки при возможности непосредственного контакта с биологическими жидкостями Вашего ребенка (мочой или калом).

После этого тщательно **мойте руки** теплой водой с мылом или обрабатывайте содержащим спирт антисептиком для рук.

Используйте двойные пластиковые пакеты для утилизации использованных подгузников и других отходов. Одноразовые подгузники можно выбрасывать вместе с бытовыми отходами.

Если у Вас имеются какие-либо вопросы о том, как обращаться с биологическими жидкостями Вашего ребенка, проконсультируйтесь с лечащим врачом Вашего ребенка, медицинской сестрой, фармацевтом или другим медицинским работником.

Представленная информация предназначена исключительно для ознакомительных целей и не заменяет обсуждения ситуации с врачом Вашего ребенка или медицинскими работниками, которые лечат Вашего ребенка. Информация относится к спинальной мышечной атрофии и предназначена для общего ознакомления.

3 После лечения (продолжение)

Поддерживающее лечение

Хотя препарат Золгенсма и обеспечивает доставку полностью функционирующей копии гена *SMN*, у Вашего ребенка все еще имеется СМА.

У пациентов со СМА проводится дополнительное поддерживающее лечение, включая следующее:



Ортопедические процедуры



Физиотерапия



Помощь с обеспечением питания, при приеме пищи и употреблении жидкости



Дыхательная поддержка, например, использование кислородной маски



Профилактика инфекций дыхательных путей (например, вакцинация для профилактики гриппа и пневмонии)



Удаление секрета из дыхательных путей



Медицинские работники, которые оказывают помощь Вашему ребенку, будут взаимодействовать с Вами, чтобы обеспечить поддерживающее лечение Вашего ребенка в соответствии с его потребностями.

СМА — спинальная мышечная атрофия; SMN — белок «выживаемости двигательных нейронов».

Представленная информация предназначена исключительно для ознакомительных целей и не заменяет обсуждения ситуации с врачом Вашего ребенка или медицинскими работниками, которые лечат Вашего ребенка. Информация относится к спинальной мышечной атрофии и предназначена для общего ознакомления.

Когда следует обращаться за медицинской помощью?



Немедленно обратитесь за неотложной медицинской помощью при возникновении следующих ситуаций:

В некоторых случаях препарат Золгенсма может оказывать влияние на функцию печени и привести к ее повреждению. Возможные признаки, на которые Вам следует обратить внимание после того, как ребенку введут этот лекарственный препарат, включают **рвоту, желтуху** (появление желтушного окрашивания кожи или белков глаз) или **снижение внимания ребенка.**

Препарат Золгенсма может снижать количество тромбоцитов в крови (тромбоцитопения). Поговорите с врачом, если заметите у ребенка такие признаки, как **кровоподтеки** или **кровотечения**, сохраняющиеся дольше, чем обычно после травмы.

Препарат Золгенсма может повышать риск нарушения свертывания крови в мелких кровеносных сосудах (тромботическая микроангиопатия). Немедленно сообщите врачу, если заметите у ребенка такие признаки и симптомы, как **легко развивающиеся кровоподтеки, судороги** или **уменьшение выделения мочи.**

Сообщите лечащему врачу Вашего ребенка, если у ребенка возникла **рвота до или после лечения** препаратом Золгенсма, чтобы убедиться, что ребенок получил необходимую дозу глюкокортикостероида (преднизолона или эквивалентного препарата).

Немедленно сообщите лечащему врачу Вашего ребенка, если у ребенка появились любые признаки и симптомы, указывающие на развитие инфекционного заболевания (например, простуды, гриппа или бронхиолита) **до** или **после** введения препарата Золгенсма, поскольку это может привести к другим более серьезным осложнениям, которые могут потребовать неотложного медицинского вмешательства. К таким признакам относятся: **кашель, свистящее дыхание, насморк, боль в горле или повышение температуры тела.**

Представленная информация предназначена исключительно для ознакомительных целей и не заменяет обсуждения ситуации с врачом Вашего ребенка или медицинскими работниками, которые лечат Вашего ребенка. Информация относится к спинальной мышечной атрофии и предназначена для общего ознакомления.

Контактные данные врача

После инфузии препарата Золгенсма за вашим ребенком будет продолжаться медицинское наблюдение. Если у Вас возникнут какие-либо вопросы, или Вы захотите поговорить с лечащим врачом Вашего ребенка или другими медицинскими работниками, Вы можете использовать приведенную ниже форму, чтобы записать их контактные данные.

ФИО: _____
Должность: _____
Номер телефона: _____
Адрес электронной почты: _____

ФИО: _____
Должность: _____
Номер телефона: _____
Адрес электронной почты: _____

ФИО: _____
Должность: _____
Номер телефона: _____
Адрес электронной почты: _____

ФИО: _____
Должность: _____
Номер телефона: _____
Адрес электронной почты: _____

ФИО: _____
Должность: _____
Номер телефона: _____
Адрес электронной почты: _____

ФИО: _____
Должность: _____
Номер телефона: _____
Адрес электронной почты: _____

Местные ассоциации

По всему миру существует множество ассоциаций пациентов, которые могут оказать помощь вам и Вашему ребенку в лечении СМА. Они могут предоставить информацию о СМА, последних исследованиях и поддержке сообщества. Поговорите с врачом вашего ребенка, который сможет предоставить Вам более детальную информацию о пациентских организациях на территории ЕАЭС.

СМА — спинальная мышечная атрофия.

Часто встречающиеся термины, которые следует знать

Определения терминов, встречающихся в данном руководстве

Аденоассоциированный вирус 9 (AAV9)

Аденоассоциированный вирус 9 (AAV9) - это разновидность вируса. AAV9 можно изменить таким образом, чтобы он не вызывал заболевание у людей. В препарате Золгенсма измененный AAV9 является вирусным вектором, который используется для доставки полностью функционирующей копии гена *SMN*.

Антитела

Антитела синтезируются иммунной системой организма и помогают защищать его от болезней. Каждый тип антител является уникальным и защищает организм от определенного типа заболевания.

Атрофия

Атрофия означает истощение или «усыхание». Например, мышца, которая истощается, называется атрофированной.

Ствол головного мозга

Ствол головного мозга - это часть головного мозга, которая обеспечивает важнейшие функции организма, в том числе дыхание и сон. Ствол головного мозга соединяет спинной мозг с остальными отделами головного мозга.

Кортикостероиды (синоним: глюкокортикостероиды)

Кортикостероиды - это класс лекарственных препаратов, которые подавляют функции иммунной системы, что может помочь справиться с любым возможным повышением уровня печеночных ферментов после лечения препаратом Золгенсма.

Дезоксирибонуклеиновая кислота (ДНК)

ДНК (дезоксирибонуклеиновая кислота) является наследственным материалом человека и почти всех других организмов. Почти в каждой клетке человеческого организма содержится одна и та же ДНК.

Гены

Наборы наследственной информации, которая сообщает организму, как синтезировать белки Гены существуют в организме парами: по одной копии наследуется от каждого родителя.

Генная терапия

Генная терапия - это способ лечения или предотвращения прогрессирования заболеваний с использованием генотерапевтических препаратов. Существуют различные типы генной терапии, которые оказывают действие различными способами. К ним относятся замещение отсутствующих или исправление поврежденных генов, добавление нового гена для повышения эффективности другого лекарственного препарата, или прекращение функции гена, по информации которого синтезируется слишком много белка, который становится токсичным для организма.

Генетическое заболевание

Патологическое состояние, вызванное наличием поврежденного гена или генов или его/их отсутствием. Генетические заболевания являются наследственными. СМА является примером генетического заболевания.

Внутривенная инфузия

Введение препарата в вену через катетер (пластиковую трубку), который вводится в вену с использованием иглы.

Двигательный нейрон (мотонейрон)

Специальные нервные волокна, которые передают сигналы от головного мозга к мышцам для контроля движений.

Существуют два типа двигательных нейронов: центральные (верхние), которые передают сигналы от головного мозга в ствол головного мозга и в спинной мозг, и нижние (периферические), передающие сигналы от центральных двигательных нейронов к мышцам.

Тромбоциты

Это тип клеток крови, которые отвечают за процесс свертывания крови.

Преднизолон

Преднизолон - это лекарственный препарат из класса так называемых кортикостероидов (глюкокортикостероидов), который помогает справиться с любым возможным повышением уровня печеночных ферментов после лечения препаратом Золгенсма.

Белки

Белки являются важными молекулами, участвующими в реализации почти каждой функции в организме. Белки участвуют в образовании клеток организма, помогают клеткам транспортировать и синтезировать важные соединения, а также участвуют в восстановлении и выживании клеток.

Нежелательные реакции

Нежелательные реакции - это вторичный, обычно неблагоприятный эффект лекарственного препарата.

Спинальная мышечная атрофия (СМА)

СМА - это редкое заболевание, которое приводит к постепенному ослаблению мышц из- за прекращения работы специализированных нервных клеток в организме, называемых двигательными нейронами, которые контролируют движения мышц. Двигательные нейроны разрушаются и прекращают работать из-за того, что в них отсутствует достаточное количество белка SMN.

Ген *SMN1*

Ген *SMN1* - основной вариант гена *SMN*, кодирующий синтез белка SMN, необходимого для правильной работы двигательных нейронов. У людей со СМА обе копии этого гена повреждены либо отсутствуют. Это означает, что клетки организма не способны синтезировать достаточное количество белка SMN.

Ген *SMN2*

Ген *SMN2* действует как «резервный» для поддержания синтеза белка SMN. Ген *SMN2* обеспечивает синтез лишь небольшого количества функционирующего белка SMN.

Белок «выживаемости двигательных нейронов» (SMN)

Белок SMN является жизненно важным белком для надлежащей работы и выживаемости двигательных нейронов. В отсутствие достаточного количества белка SMN двигательные нейроны разрушаются и прекращают работать. Белок SMN синтезируется в организме в присутствии гена *SMN*.

Золгенсма®

Важно! Перед назначением препарата ознакомьтесь с полной общей характеристикой лекарственного препарата, доступной на электронных ресурсах: https://www.novartis.com/ru-ru/about/products (дата доступа 14.09.2026), https://lk.regmed.ru/Register/EAEU_SmPC (дата доступа 14.09.2026).

Форма выпуска

Раствор для инфузий: в 1 мл онасемноген абепарвовека содержится $2,0 \times 10^{13}$ векторных геномов (вг) (номинальная концентрация). Два флакона размером 5,5 мл или 8,3 мл.

Показания к применению

Препарат Золгенсма® показан для применения у пациентов со спинальной мышечной атрофией (СМА) с биаллельной мутацией в гене SMN1.

Дозы и способ применения

Инфузия препарата должна выполняться только медицинским специалистом. Пациенты не должны получать повторную инфузию препарата Золгенсма®. Рекомендуемая доза составляет $1,1 \times 10^{14}$ вектор-геномов (вг)/кг. Надлежащая доза и состав комплекта определяются массой тела пациента.

Применение препарата Золгенсма® у пациентов с инфекциями следует отложить до тех пор, пока инфекция не разрешится и состояние пациента не станет клинически стабильным.

Перед инфузией препарата Золгенсма® следует оценить содержание антител к AAV9, оценить исходно функцию печени (АЛТ, АСТ, общий билирубин, альбумин, протромбиновое время, АЧТВ, международное нормализованное отношение [МНО]), определить уровень креатинина, рекомендовано проведение общего анализа крови. После инфузии препарата Золгенсма® следует регулярно контролировать функцию печени и количество тромбоцитов. Все пациенты должны получать системные кортикостероиды до и после приема препарата Золгенсма®. Подробные указания приведены в полной общей характеристике лекарственного препарата.

Пациенты особых категорий

Нарушение функции почек. Безопасность и эффективность препарата Золгенсма® у пациентов с нарушениями функции почек не установлены.

Нарушения функции печени. При рассмотрении вопроса о применении препарата Золгенсма® у пациентов с нарушениями функции печени следует соблюдать осторожность.

Педиатрические пациенты. Безопасность и эффективность онасемноген абепарвовека у недоношенных новорожденных до достижения полного гестационного возраста не установлены.

Способ применения. Только для однократной внутривенной инфузии.

Подробные указания по приготовлению и внутривенной инфузии приведены в полной общей характеристике лекарственного препарата.

Представленная информация предназначена исключительно для ознакомительных целей и не заменяет обсуждения ситуации с врачом Вашего ребенка или медицинскими работниками, которые лечат Вашего ребенка. Информация относится к спинальной мышечной атрофии и предназначена для общего ознакомления.

Противопоказания. Гиперчувствительность к онасемноген абепарвовеку или к любому из вспомогательных веществ.

Особые указания и меры предосторожности

• СМА поздней стадии. У пациентов с прогрессирующей СМА, жизнь которых поддерживается за счет постоянной ИВЛ и которые не набирают вес, соотношение пользы и риска, связанных с применением препарата Золгенсма®, не установлено.
• Гепатотоксичность. Введение AAV-вектора может приводить к повышению активности аминотрансфераз, которое может быть серьезным. Сообщалось о случаях острой печеночной недостаточности с летальным исходом. До и после инфузии препарата Золгенсма® всем пациентам следует вводить системный кортикостероид. Функцию печени следует оценить исходно до инфузии и наблюдать за ней в течение по крайней мере 3 месяцев после инфузии и в любых других случаях при наличии клинических показаний. При подозрении на поражение печени рекомендуется проведение дальнейшего обследования (например, определение уровня альбумина, протромбинового времени, АЧТВ и МНО). Риски и пользу, связанные с применением препарата Золгенсма®, следует тщательно сопоставить при принятии решения о применении препарата у пациентов с нарушением функции печени. • Системный иммунный ответ. В связи с повышенным риском развития серьезного системного иммунного ответа перед инфузией препарата Золгенсма® рекомендуется, чтобы общее состояние здоровья пациентов было клинически стабильным.
• Иммуногенность. Наличие антител к AAV9 у пациента следует определить до инфузии препарата Золгенсма®. • Тромбоцитопения Число тромбоцитов следует определить до инфузии препарата Золгенсма® и периодически определять после инфузии. • Тромботическая микроангиопатия (ТМА) Если у пациента присутствуют клинические признаки, симптомы и (или) лабораторные нарушения, характерные для ТМА, следует немедленно проконсультироваться с детским гематологом и (или) детским нефрологом для назначения лечения ТМА в зависимости от клинических показаний. • Тропонин-I. При наличии клинических показаний следует рассмотреть возможность проведения обследования сердца и при необходимости проконсультироваться с кардиологом.
• Теоретический риск онкогенности. Существует теоретический риск онкогенности по причине интеграции ДНК вектора AAV в геном.

Нежелательные лекарственные реакции

Очень часто *(≥1/10)*: повышение уровня печеночных ферментов.

Часто *(≥1/100, но <1/10)*: тромбоцитопения, рвота, гепатотоксичность, пирексия, повышение концентрации тропонина.

Нечасто *(≥1/1000, но <1/100)*: тромботическая микроангиопатия, острая печеночная недостаточность, инфузионные реакции.

Редко *(≥1/10000, но <1/1000)*: анафилактические реакции.

Взаимодействия. Исследования по изучению взаимодействия с другими лекарственными препаратами не проводились.

Условия отпуска. По рецепту.

Новартис Фарма АГ, Лихтштрассе 35, 4056 Базель, Швейцария

Представленная информация предназначена исключительно для ознакомительных целей и не заменяет обсуждения ситуации с врачом Вашего ребенка или медицинскими работниками, которые лечат Вашего ребенка. Информация относится к спинальной мышечной атрофии и предназначена для общего ознакомления.

Для сообщения о нежелательных явлениях свяжитесь с отделом по фармаконадзору группы компаний «Новартис»:

ООО «Новартис Фарма» в Российской Федерации:
Адрес: 125315, г. Москва, Ленинградский проспект, д. 70. Телефон: +7 (495) 967-12-70, факс: +7 (495) 967-12-68.
Электронная почта: drug.safety_russia@novartis.com

Представительство АО «Новартис Фарма Сервисес АГ»
(Швейцарская Конфедерация) в Республике Беларусь: 220069, г. Минск, пр-т Дзержинского, 5, пом.3, офис 3-1, Тел.: +37517 360 03 65
Электронная почта: drugsafety.cis@novartis.com

ТОО «Новартис Казахстан» в Республике Казахстан:
Адрес: 050022, г. Алматы, ул. Курмангазы, 95. Телефон: +7 (727) 258-24-47
Электронная почта: drugsafety.cis@novartis.com

Сообщения о нежелательных реакциях:

- В случае возникновения любых нежелательных реакций необходимо сообщить о них врачу.
- Это касается в том числе и возможных нежелательных реакций, не перечисленных в ОХЛП и ЛВ.
- Можно также уведомить о возникновении нежелательных реакций местные уполномоченные органы:

Российская Федерация
Федеральная служба по надзору в сфере здравоохранения. Адрес: 109012, г. Москва, Славянская площадь, д. 4, стр. 1. Телефон: +7 (800) 550-99-03
Электронная почта: npr@roszdravnadzor.gov.ru или pharm@roszdravnadzor.gov.ru
Сайт в информационно-телекоммуникационной сети «Интернет»:
https://www.roszdravnadzor.gov.ru

Республика Беларусь:
ГУ «Госфармнадзор» Адрес: 220030, г. Минск, ул. Мясникова, д. 32, пом. 2.
Телефон: +375 (17) 242-00-29, факс: +375 (17) 271-25-75
Электронная почта: pharm@gospharmnadzor.by
Сайт в информационно-телекоммуникационной сети «Интернет»:
https://gospharmnadzor.by

Республика Казахстан
РГП на ПХВ «Национальный центр экспертизы лекарственных средств и медицинских изделий» Комитета медицинского и фармацевтического контроля Министерства здравоохранения Республики Казахстан. Адрес: 010000, г. Астана, ул. А.Иманова, 13, 4 этаж
Телефон: +7 (7172) 235_135
Электронная почта: farm@dari.kz
Сайт: www.ndda.kz

Материал подготовлен компанией ООО «Новартис Фарма».
Россия, 125315, г. Москва, Ленинградский пр-т., д. 70,
тел.: +7 (495) 967-12-70, факс: +7 (495) 967-12-68, www.novartis.ru
Код одобрения в Российской Федерации:
11789103/OnaAbe/A5/09.26/400/RMP
Код одобрения в Республике Беларусь:
BY/11787388/OnaAbe/PDF/10.26/0/RMP

NOVARTIS

Представленная информация предназначена исключительно для ознакомительных целей и не заменяет обсуждения ситуации с врачом Вашего ребенка или медицинскими работниками, которые лечат Вашего ребенка. Информация относится к спинальной мышечной атрофии и предназначена для общего ознакомления.