# زولجنسيما
# مُرشد للأهل / للمُعالجين

حصلت على هذا المُرشد من طبيب/ة طفلك لأنّ ابنك حصل على وصفة علاج بمستحضر زولجنسيما. هدف هذا المُرشد هو توفير معلومات عملية ليدعم المحادثات مع الطبيب/ة. يجب قراءة هذا المُرشد سويًا مع النشرة للمستهلك الخاصة بالمستحضر التي حصلت عليها لهذا الدواء

إذا شعر طفلك بأعراض جانبيّة، تحدث مع طبيب/ة أو ممرض/ة طفلك، وهذا يشمل كل عرض جانبي محتمل غير مذكور في هذا المُرشد أو في النشرة للمستهلك التي أعطيت سويًا مع هذا المُرشد

**إذا كانت لديك أسئلة أو مخاوف تتعلق بـ زولجنسيما، تحدث مع طبيب/ة أو ممرض/ة طفلك**

**تمّ تطوير وإعداد هذا المُرشد بهدف تقديم معلومات مفيدة التي ترتكز حول:**

- **ما هو مرض الضمور العضلي الشوكي (SMA)**
- **ما هو زولجنسيما وكيف يعمل**
- **معلومات هامة تتعلق بالسلامة والأعراض الجانبية المحتملة لـ زولجنسيما**
- **كل مرحلة في رحلة العلاج بـ زولجنسيما**

إذا كانت لديك أسئلة أو مخاوف تتعلق بهذا الدواء أو بصحة ورفاهية طفلك، تحدث من فضلك مع طبيب/ة أو ممرض/ة طفلك

## تفاصيل اتصال هامة

SMA, spinal muscular atrophy.

# محتوى المُرشد


**عن مرض الضمور العضلي الشوكي (SMA)** 4

- ما هو مرض الضمور العضلي الشوكي (SMA)؟ 4
- ما هي الأنواع المختلفة من مرض الضمور العضلي الشوكي (SMA)؟ 5
- ما الذي يسبّب مرض الضمور العضلي الشوكي (SMA)؟ 6
- كيف تُصاب بمرض الضمور العضلي الشوكي (SMA)؟ 7

**عن زولجنسيما** 8

ما هو زولجنسيما 8

زولجنسيما ومرض الضمور العضلي الشوكي (SMA) المتقدم 9

**فهم مخاطر زولجنسيما** 10

معلومات هامة تتعلق بالسلامة والأعراض الجانبية المحتملة لـ زولجنسيما

**علاج بـ زولجنسيما** 15

- قبل العلاج 16
- يوم العلاج 18
- بعد العلا 19

**متى يجب التوجه للحصول على علاج طبيّ** 25

**تفاصيل التواصل مع الطبيب/ة** 26

**جمعيات مرضى محلية** 27

**مصطلحات شائعة** 28

تعريفات عملية للمصطلحات المستخدمة في هذا المُرشد

**ملاحظات** 30




SMA, spinal muscular atrophy.

# ما هو مرض الضمور العضلي الشوكي (SMA)؟

مرض الضمور العضلي الشوكي (SMA) هو مرض وراثي نادر الذي يحدث فيه فقدان للأعصاب، الأمر الذي يؤدي إلى ضعف عضلات. يحدث هذا الأمر لأنّ خلايا عصبية (عصبونات) خاصة في الجسم التي تسيطر على حركة العضلات، والتي تدعى أعصاب حركية، تضمر وتتوقف عن العمل

### إشارات تصل من الدماغ

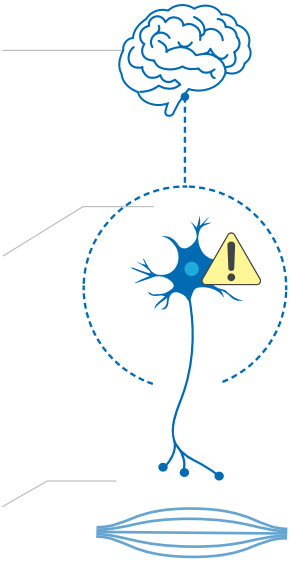
لدى الأشخاص الذين يعانون من مرض الضمور العضلي الشوكي (SMA)، الإشارات التي تؤدي إلى حركة العضلات تستمر في التكوّن في الدماغ

### أعصاب حركية تتوقف عن العمل

مع ذلك، الجين المعطوب يؤدي إلى توقف عمل خلايا عصب خاصة، التي تدعى أعصاب حركية، التي تحمل إشارات من الحبل الشوكي إلى العضلات. معنى ذلك أنّ إشارات الحركة التي تُرسل من الدماغ ليست قادرة على الوصول إلى العضلات

### عضلات ضعيفة

إذا لم تعد العضلات تحصل على المزيد من الإشارات التي تأمرها بالتحرك، فإنها ستصبح أكثر ضعفًا (تضمر)



في مرض الضمور العضلي الشوكي (SMA)، لا تتغير القدرة على التفكير، التعلّم وبناء العلاقات

## ما هي أعراض مرض الضمور العضلي الشوكي (SMA)؟

مرض الضمور العضلي الشوكي (SMA) يعرض مجموعة من الأعراض التي قد تتغير من شخص إلى آخر ومن حيث شدتها أيضًا. مرض SMA ممكن أن يؤثر على النشاطات اليومية مثل التنفس، تناول الطعام، الجلوس، الزحف والمشي. كلما كان ظهور أعراض مرض SMA في وقت مبكر أكثر، كلما كان من المتوقع أن يكون المرض أكثر خطورة

# ما هي الأنواع المختلفة من مرض الضمور العضلي الشوكي (SMA)؟

يمكن تصنيف الأشخاص الذين يعانون من مرض SMA أثناء التشخيص، إلى أنواع مختلفة استنادًا إلى أعمارهم عند ظهور المرض وقدرتهم القصوى في أداء الوظائف، أو "المعالم الحركية". المعالم الحركية ذات الصلة لفهم نوع مرض SMA الذي من الممكن أن يعاني منه الأطفال تشمل قدرتهم على:

رفع الرأس

إمساك غرض باليد

الزحف

الجلوس

التقلب من جهة إلى أخرى

الوقوف والمشي

| العمر عند ظهور المرض | ولادة | ≤ 6 أشهر | 6–18 شهرًا | > 18 شهرًا | ≤ 18 سنة |
|---|---|---|---|---|---|
| القدرة الوظيفية | من المحتمل أن يصاب الجنين بضرر قبل الولادة | غير قادر على الجلوس بشكل مستقل | قادر على الجلوس، ممكن أن يقف، غير قادر على المشي بشكل مستقل | المشي بشكل مستقل | المشي بشكل مستقل حتى سن البلوغ |
| تصنيف | SMA نوع 0 | SMA نوع 1 | SMA نوع 2 | SMA نوع 3 | SMA نوع 4 |
| الخطورة | ظهور مبكر أكثر، مرض أكثر خطورة | | | ظهور متأخر أكثر، مرض أقل خطورة | |

دون تدخل أو علاج، يكون العمر المتوقع للأطفال الذين يعانون أشكالا أكثر شدة من مرض SMA أقصر. مع تدخل طبي وعلاج مبكرين، يمكن تقليل سرعة التدهور، وفي أحيان متقاربة يتمكن الأطفال من تحقيق معالم إرشادية التي يمكن رؤيتها في حالات نادرة خلال المسار الطبيعي للمرض

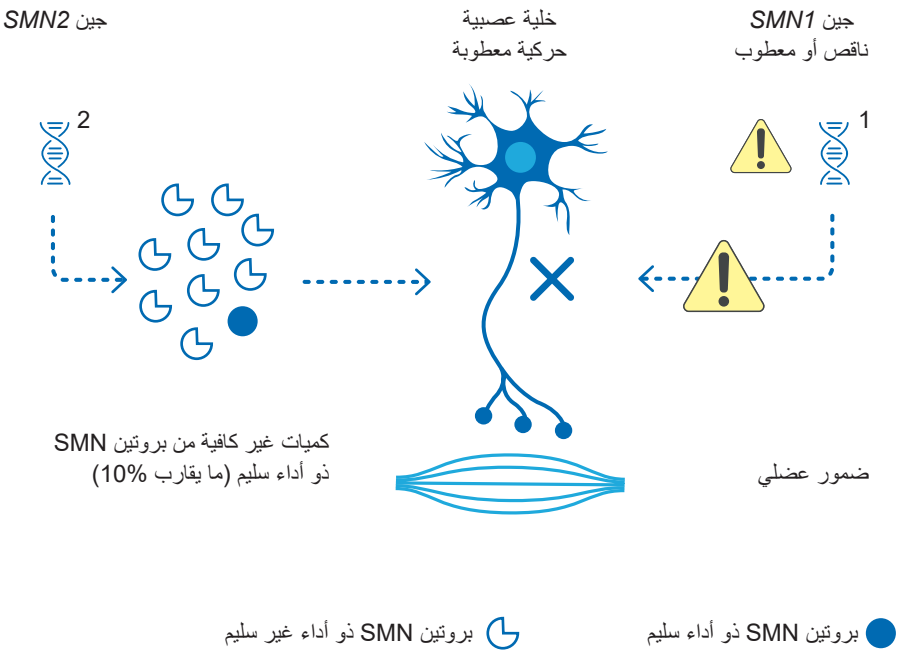


SMA, spinal muscular atrophy.

# ما الذي يسبّب مرض الضمور العضلي الشوكي (SMA)؟

بروتين الذي يدعى بروتين بقاء الأعصاب الحركية (SMN) وهو ضروري لعمل الأعصاب الحركية بشكل سليم. بدون البروتين SMN، الأعصاب الحركية في العمود الفقري تتوقف عن العمل وتصبح العضلات أضعف. يتم إنتاج هذا البروتين في الجسم بمساعدة الجينات لـ *SMN*

في مرض SMA، الجين *SMN* الأساسي المعروف كـ *SMN1* يكون معطوبًا أو ناقصًا. يوجد جين *SMN* ثانٍ المعروف كـ *SMN2*، الذي يعمل أكثر كـ "دعم" ويُنتج كميات صغيرة فقط من البروتين SMN. في مرض SMA، يتم إنتاج البروتين SMN بكمية غير كافية، وتتوقف الأعصاب الحركية عن العمل، فتؤدي هذه الظاهرة إلى ضعف العضلات




SMA, spinal muscular atrophy; SMN, survival motor neuron.

# كيف نُصاب بمرض الضمور العضلي الشوكي (SMA)؟

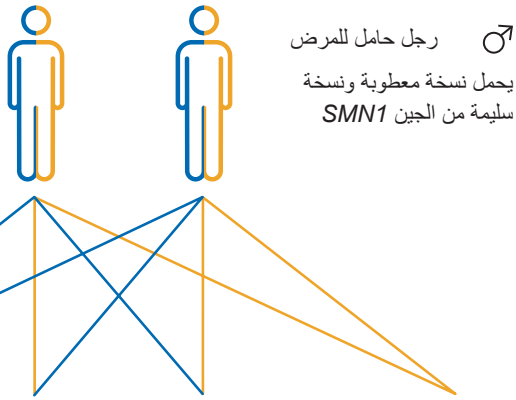
مرض الضمور العضلي الشوكي (SMA) هو عادة مرض وراثي، مع أنه أحيانًا يحدث نتيجة خطأ عشوائي في الجين *SMN1*

يرث الأطفال نسختين عن الجين *SMN1*، نسخة واحدة من كل واحد من الوالدين. نصف المعلومات الجينية يكون مصدرها من الأم والنصف الثاني من الأب

الأشخاص الذين لديهم جين *SMN1* واحد سليم وجين *SMN1* واحد معطوب معروفين كحاملين للمرض. لا تظهر عليهم عادة علامات مرض SMA. إذا كان كلا الوالدين حاملين للمرض، يكون هناك في الواقع احتمال بنسبة 25% لأن يرث الطفل ويطوّر مرض SMA

ما يقارب **1 من بين كل 50** شخصًا هو حامل لمرض SMA

يظهر مرض SMA بوتيرة ما يقارب **1 من بين 10,000 – 12,000** ولادة حية، ويمكن أن يظهر في أي عرق أو جنس




**سليم صحيًا**
يرث الطفل نسخة سليمة من الجين *SMN1* من كل واحد من الوالدين، ولذلك فإنه غير حامل للمرض وغير مريض

**حامل للمرض** | **حامل للمرض**
ورث الطفل نسخة سليمة ونسخة معطوبة من الجين *SMN1*، ولذلك فإنه يتحول إلى حامل لمرض SMA

**مريض SMA**
ورث الطفل نسخة معطوبة من الجين *SMN1* من كل واحد من الوالدين، ولذلك فإنه يطوّر لديه SMA



SMA, spinal muscular atrophy; SMN, survival motor neuron.

# ما هو زولجنسيما

## زولجنسيما هو علاج للرضع وللأطفال الصغار مع مرض الضمور العضلي الشوكي (SMA).
## زولجنسيما هو نوع من العلاج الذي يُدعى "شفاء وراثي"

يتكوّن زولجنسيما من فيروس معدّل، وهو فيروس له علاقة بالفيروس الغداني رقم 9 (AAV9)، الذي يشمل نسخة من الجين *SMN* فعّالة بشكل كامل (الجين المعطوب في مرض SMA). فيروس AAV9 في زولجنسيما يُستخدم كحامل الذي ينقل الجين البديل إلى داخل الجسم وإلى داخل الخلايا حيث هناك حاجة إليه

**1**

في زولجنسيما، الجين *SMN* متمركز داخل الفيروس المعدّل (AAV9)، الذي لا يسبب مرضًا لدى بني البشر

**2**

يُعطى زولجنسيما لطفلك عن طريق الوريد (داخل الوريد)

**3**

الفيروس المعدّل في زولجنسيما يُحمل في الجسم وينقل الجين *SMN* إلى الخلايا حيث هناك حاجة إليه

**4**

بواسطة تزويد نسخة فعّالة بشكل كامل من الجين *SMN*، يساعد زولجنسيما الجسم في إنتاج بروتين SMN بكمية كافية

AAV, adeno-associated virus; DNA, deoxyribonucleic acid; SMA, spinal muscular atrophy; SMN, survival motor neuron.

## زولجنسيما في مرض الضمور العضلي الشوكي (SMA) المتقدم

يستطيع زولجنسيما إنقاذ أعصاب حركية التي لا تزال حيّة وبإمكانها النمو، لكن ليس أعصاب حركية ميتة. قد يكون لدى الأطفال مع أعراض SMA أقل حدة، كمية كافية من الأعصاب الحركية الحيّة من أجل استخلاص الفائدة من العلاج بـ زولجنسيما. من الممكن ألا يكون زولجنسيما ناجعًا بنفس القدر للأطفال الذين يعانون من أعراض شديدة



SMA, spinal muscular atrophy.

# فهم مخاطر زولجنسيما

**كجميع الأدوية، قد يسبّب استعمال زولجنسيما أعراضًا جانبيّة، على الرغم من أنها لا تظهر لدى الجميع**

**إذا ظهرت أية أعراض جانبية لدى طفلك، تحدث مع طبيب/ة أو ممرض/ة طفلك فورًا**

## معلومات سلامة مهمة ومتى يجب التوجه للحصول على علاج طبيّ

### مشاكل في الكبد

أبلغ الطاقم الطبي المعالج لطفلك قبل إعطاء هذا الدواء لطفلك، إذا كان طفلك يعاني أو عانى في السابق من أي مشاكل في الكبد. في بعض الحالات، قد يسبّب زولجنسيما رد فعل مناعي الذي ممكن أن يؤدي إلى ارتفاع مستوى الإنزيمات (بروتينات الموجودة في الجسم) التي يُنتجها الكبد أو ممكن أن يؤدي إلى إصابة في الكبد

إصابة في الكبد من الممكن أن تؤدي إلى نتائج خطيرة، وهذا يشمل فشل في الكبد ووفاة. العلامات المحتملة التي يجب عليك الانتباه إليها بعد إعطاء هذا الدواء لطفلك تشمل حالات تقيؤ، يرقان (اصفرار الجلد أو بياض العينين) أو هبوط في اليقظة. أبلغ طبيب/ة طفلك فورًا إذا لاحظت تطوّر أي نوع من الأعراض التي تشير إلى إصابة في الكبد لدى طفلك

### تخثر دم غير سليم

قد يزيد زولجنسيما من خطر حدوث تخثر دم غير سليم في أوعية دموية صغيرة (اعتلال الأوعية الدقيقة الخثاري)، ويحدث ذلك عادة خلال أول أسبوعين بعد العلاج بـ زولجنسيما. قد تؤثر تخثرات الدم هذه على كلى طفلك. أبلغ طبيب/ة طفلك فورًا إذا لاحظت علامات وأعراض مثل نزف دموي (كدمات) التي تتكوّن بسهولة، اختلاجات أو قلة في التبوّل

ينبغي الانتباه بعناية فائقة لهذه العلامات والأعراض، لأنّ تخثر دم غير سليم (اعتلال الأوعية الدقيقة الخثاري) هو أمر خطير ويمكن أن يشكل خطرًا على الحياة إذا لم يتم علاجه

## تعداد منخفض لصفائح الدم

قد يسبّب زولجنسيما انخفاضًا في تعداد صفائح الدم (قلة الصفائح الدموية)، ويحدث ذلك عادة خلال الأسابيع الثلاثة الأولى بعد العلاج بـ زولجنسيما. العلامات المحتملة لتعداد منخفض لصفائح الدم التي يجب عليك الانتباه إليها بعد إعطاء زولجنسيما لطفلك تشمل نزف دموي (كدمات) أو حالات نزف غير طبيعي

تحدث مع الطبيب/ة إذا لاحظت وجود علامات مثل نزف دم (كدمات) أو حالات نزف متواصل أكثر من المعتاد إذا أصيب طفلك بجرح

## ارتفاع في تروپونين-I

قد يزيد زولجنسيما من مستويات بروتين القلب الذي يدعى تروپونين-I (تروپونين أي)، وهي ظاهرة التي قد تشير إلى وجود إصابة في القلب. يجب عليك الانتباه إلى علامات محتملة لمشاكل في القلب بعد إعطاء زولجنسيما لطفلك، مثل لون جلد رمادي شاحب أو أزرق، صعوبات في التنفس (مثل تنفس سريع، ضيق تنفس)، انتفاخ في الذراعين والساقين أو في البطن

سيخضع طفلك لفحوصات دم لفحص أداء وظائف الكبد، وظائف الكلى، تعداد خلايا الدم (بما في ذلك خلايا الدم الحمراء والصفائح) ومستوى تروپونين-I قبل بدء العلاج بـ زولجنسيما

طيلة 3 أشهر على الأقل بعد العلاج، سيخضع طفلك لفحوصات دم منتظمة لفحص أداء وظائف الكبد ولمراقبة التغييرات في مستويات الصفائح الدموية ومستويات تروپونين-I. بحسب القيم، العلامات والأعراض الأخرى، من المحتمل أن تكون هناك حاجة لإجراء تقييمات إضافية. مدة الفحوصات يُحددها طبيب/ة طفلك

لمعلومات إضافية عن زولجنسيما، يُرجى قراءة النشرة للمستهلك التي أعطيتك لك. لا تتردد في التحدث مع الطاقم الطبي الخاص بطفلك إذا كانت لديك أسئلة

# فهم مخاطر زولجنسيما (تابع)

**كجميع الأدوية، قد يسبّب زولجنسيما أعراضًا جانبيّة، على الرغم من أنها لا تظهر لدى الجميع**

**إذا ظهرت أية أعراض جانبية لدى طفلك، تحدث مع طبيب/ة أو ممرض/ة طفلك فورًا**

### حالات حساسية

يُمنع إعطاء زولجنسيما لطفلك إذا وُجدت لديه حساسية لأحد مركبّات الدواء (المركبّات مفصّلة في البند 6 من نشرة المعلومات للمستهلك التي أعطيت لك سويًا مع هذا المُرشد)

---

### كورتيكوستيرويدات

كذلك سيحصل طفلك على كورتيكوستيرويدات (بريدنيزولون أو مستحضر يعادله) لفترة زمنية معينة قبل وبعد العلاج بـ زولجنسيما. طول المدة الزمنية التي سيُعطى فيها لطفلك كورتيكوستيرويدات بعد العلاج بـ زولجنسيما سيتغير وفقًا لقيم إنزيمات الكبد ولعلامات وأعراض أخرى، وسيُحدد ذلك من قبل طبيب/ة طفلك. ستبلغ هذه الفترة الزمنية شهرين على الأقل

ستساعد الكورتيكوستيرويدات في التحكم بارتفاع محتمل في مستويات إنزيمات الكبد الذي ممكن أن يتطوّر لدى طفلك نتيجة لرد فعل مناعي لـ زولجنسيما. سيقوم طبيب/ة طفلك بحساب وتحديد جرعة الكورتيكوستيرويدات التي ستعطى لطفلك بحسب وزنه

خلال إعطاء الكورتيكوستيرويدات، قد يكون طفلك معرضًا لأنواع عدوى جديدة أو لأمراض أطفال اعتيادية أخرى التي قد تتطلب استخدام أدوية أخرى. قبل بدء العلاج بأدوية أخرى، أو إذا كانت لديك أسئلة بخصوص الكورتيكوستيرويدات، من الضروري استشارة طبيب/ة أو ممرض/ة طفلك

## أدوية أخرى وزولجنسيما

يُعطى زولجنسيما لطفلك مرّة واحدة فقط. أبلغ طبيب/ة أو ممرض/ة طفلك إذا كان طفلك يتناول، تناول مؤخرًا أو ممكن أن يتناول أدوية أخرى

## عدوى

قد يكون لطفلك جهاز مناعي ضعيف بسبب العلاج بالكورتيكوستيرويدات؛ هذا يعني أن حالات العدوى التي يستطيع الأشخاص الأصحاء مواجهتها عادة، ممكن أن تسبّب إلى مرض خطير لدى طفلك. إذا تطورت عدوى لدى طفلك (مثل نزلة برد، إنفلونزا أو التهاب الشعب الهوائية) **قبل** أو **بعد** العلاج بـ زولجنسيما، قد يؤدي هذا الأمر إلى حدوث مضاعفات أخرى أكثر خطورة التي قد تحتاج إلى علاج طبي طارئ

يجب عليك تبليغ طبيب/ة طفلك فورًا إذا لاحظت تطوّر أيّ علامات وأعراض لدى طفلك التي تشير إلى وجود عدوى، **قبل** أو **بعد** العلاج بـ زولجنسيما، مثل:

- سُعال
- عطس
- ألم حنجرة
- خرخرة (صفير)
- سيلان الأنف
- حمى

من الضروري منع حصول حالات عدوى قبل وبعد العلاج بـ زولجنسيما بواسطة تجنب حالات التي ممكن أن تزيد الخطر لتطوّر حالات عدوى لدى طفلك. أنتم وأشخاص آخرون الموجودون بعلاقة وثيقة مع طفلك، بإمكانكم المساعدة في منع حدوث حالات عدوى بواسطة الحرص على نظافة يدين جيدة، التصرف بشكل صحيح أثناء سعال/عطس، استشارة طبيب/ة طفلك قبل إجراء عملية ختان وتحديد إمكانيات اللمس المحتملة

# فهم مخاطر زولجنسيما (تابع)

### تطعيمات

بما أنّ الكورتيكوستيرويدات ممكن أن تؤثر على جهاز المناعة، قد يقرر/تقرر طبيب/ة طفلك على تأجيل إعطاء تطعيمات معينة لطفلك أثناء فترة تلقيه علاج بـ الكورتيكوستيرويدات. تحدث مع طبيب/ة أو ممرض/ة طفلك إذا كانت لديك أسئلة

# علاج بـ زولجنسيما

**الخطوات في الصفحات القادمة ستساعدك أنت وأفراد عائلتك على فهم ما يمكن توقعه لاحقا**

# 1. قبل العلاج

**بهدف تحديد واتخاذ القرار فيما إذا كان زولجنسيما ملائمًا لطفلك، سيُجري/ستجري طبيب/ة طفلك قبل العلاج فحوصات للأجسام المضادة**

## فحص مضادات لڤيروس مرتبط بالڤيروس الغداني رقم 9 (AAV9)

يتّم إنتاج الأجسام المضادة من قِبل جهاز المناعة في الجسم، من أجل المساعدة في حمايته من الأمراض. وجود أنواع معينة من الأجسام المضادة التي تدعى الأجسام المضادة لـ AAV9، ممكن أن تسبب إلى أن يطوّر طفلك رد فعل مناعي لـ زولجنسيما. من أجل المساعدة في اتخاذ القرار فيما إذا كان زولجنسيما ملائمًا لطفلك، سيُجري/ستجري طبيب/ة طفلك قبل العلاج فحوصات للأجسام المضادة

قد يظهر لدى طفلك مستويات مرتفعة من الأجسام المضادة لـ AAV9. إذا كان الطفل قد وُلد للتو، فمن المحتمل أن تكون الأجسام المضادة قد انتقلت من الأم إلى الطفل خلال فترة الحمل. غالبًا، تنخفض مستويات الأجسام المضادة مع الوقت بعد الولادة. إذا ظهر لدى طفلك ارتفاعًا في مستويات الأجسام المضادة لـ AAV9 بعد الفحص الأول، من المحتمل أن يكون مؤهلا لإعادة الفحص مرة أخرى بعد فترة معينة من الزمن. إذا كانت لديك أسئلة، يرجى التوجه إلى طبيب/ة طفلك

## فحوصات دم

قبل العلاج بـ زولجنسيما، سيخضع طفلك لفحوصات دم من أجل فحص وتحديد المستويات الأولية بالنسبة لـ:

- أداء وظائف الكبد
- أداء وظائف الكلى
- تعداد خلايا الدم (بما في ذلك خلايا الدم الحمراء وصفائح الدم)
- مستوى تروپونين-I

هذه القياسات ستساعد الطبيب/ة في مراقبة المؤشرات لدى طفلك بعد العلاج بـ زولجنسيما

AAV, adeno-associated virus.

### كورتيكوستيرويدات

24 ساعة قبل العلاج بـ زولجنسيما، سيحصل طفلك على كورتيكوستيرويدات (بريدنيزولون أو مستحضر يعادله) من أجل التحكم بارتفاعات محتملة بمستويات إنزيمات الكبد

سيتمّ حساب جرعة الكورتيكوستيرويدات التي ستُعطى لطفلك من قِبل طبيب/ة طفلك بحسب وزنه. من أجل التأكد من عدم تفويت طفلك لجرعة الكورتيكوستيرويدات، أبلغ طبيب/ة أو ممرض/ة طفلك في حالة حدوث تقيؤ قبل العلاج بـ زولجنسيما

### عدوى

من الضروري تبليغ طبيب/ة أو ممرض/ة طفلك فورًا إذا تطوّرت أيّ أعراض لدى طفلك التي تشير إلى وجود عدوى، **قبل** أو **بعد** إعطاء زولجنسيما. إذا تطوّرت لدى طفلك قبل العلاج بـ زولجنسيما أيّ علامات وأعراض التي تشير إلى وجود عدوى، من المحتمل أن تكون هناك حاجة إلى تأجيل إعطاء التسريب حتى زوال العدوى. إذا تطوّرت لدى طفلك أعراض بعد العلاج بـ زولجنسيما، قد يؤدي ذلك إلى مضاعفات طبيّة التي قد تحتاج إلى علاج طبيّ طارئ

انظر صفحة 13 بخصوص علامات لاحتمال وجود عدوى

### الحالة الصحية العامة

قبل الحصول على علاج بـ زولجنسيما، من المهم أن تكون الحالة الصحية العامة لطفلك مناسبة، وإلا من المحتمل أن تكون هناك ضرورة إلى تأجيل العلاج. هذا الأمر يشمل الحفاظ على توازن سوائل سليم، تغذية جيدة وعدم وجود أي حالات عدوى نشطة. إذا كانت لديك أي مخاوف بخصوص الحالة الصحية العامة لطفلك قبل بدء العلاج بـ زولجنسيما، تحدث من فضلك مع طبيب/ة أو ممرض/ة طفلك

# 2. يوم العلاج

**سيتأكد الطاقم الطبي المُعالج لطفلك من أنكم تعلمون تماما ما عليكم توقعه في يوم العلاج وكيفية الاستعداد لذلك**

### بريدنيزولون

سيتم إعطاء الجرعة الأولى من كورتيكوستيرويدات فموية، عن طريق الفم (بريدنيزولون أو مستحضر يعادله) لطفلك، 24 ساعة قبل تلقي العلاج بـ زولجنسيما. انظر صفحة 17 بخصوص معلومات حول إعطاء كورتيكوستيرويدات قبل العلاج بـ زولجنسيما

في يوم العلاج، سيحصل طفلك على الجرعة الثانية من كورتيكوستيرويدات فموية، عن طريق الفم (بريدنيزولون أو مستحضر يعادله) بحسب الوصفة الطبيّة. نظام جرعات الكورتيكوستيرويدات هام من أجل التحكّم في ارتفاعات محتملة بإنزيمات الكبد، وهو يستمر لفترة معينة من الزمن بعد العلاج. انظر صفحة 21 بخصوص معلومات حول إعطاء كورتيكوستيرويدات بعد العلاج بـ زولجنسيما

من أجل التأكد من عدم تفويت طفلك لجرعة الكورتيكوستيرويدات، أبلغ طبيب/ة أو ممرض/ة طفلك في حالة حدوث تقيؤ بعد إعطاء جرعة الكورتيكوستيرويدات

**يتمّ إعطاء زولجنسيما لطفلك مرّة واحدة فقط**

### تسريب زولجنسيما

يتّم إعطاء زولجنسيما لطفلك بواسطة تسريب واحد داخل الوريد. يتضمن هذا الأمر إدخال أنبوب قسطرة (أنبوب بلاستيكي) إلى أحد أوردة طفلك بواسطة استخدام إبرة. كما ويتمّ إدخال أنبوب قسطرة احتياطي ثانوي لحالة حدوث انسداد في أنبوب القسطرة الرئيسي. يتمّ إعطاء التسريب من قِبل طبيب/ة أو ممرض/ة ذو تأهيل بعلاج مرض الضمور العضلي الشوكي – SMA. تستمر عملية التسريب ما يقارب 60 دقيقة

سيتمّ حساب كمية زولجنسيما التي ستُعطى لطفلك من قِبل طبيب/ة طفلك بحسب وزنه

SMA, spinal muscular atrophy.

# 3. بعد العلاج

**مدة الاستشفاء بعد العلاج بـ زولجنسيما سيُحددها طبيب/ة طفلك.**
**إذا كانت لديك أسئلة، تحدث مع الطاقم الطبي المُعالج لطفلك**

## أعراض جانبية محتملة

كجميع الأدوية، قد يسبّب استعمال هذا الدواء أعراضًا جانبيّة، على الرغم من أنها لا تظهر لدى الجميع

**يجب التوجه للحصول على علاج طبي طارئ إذا تطوّر لدى طفلك**
**أيّ من الأعراض الجانبية الخطيرة أو إحدى الأعراض الخطيرة التالية:**

- **أنزفة دم (كدمات)** أو **حالات نزيف** أطول من المعتاد إذا أصيب طفلك – هذه قد تكون علامات لتعداد منخفض لصفائح الدم (قلة الصفائح الدموية)
- **أنزفة دم (كدمات) التي تتكوّن بسهولة، اختلاجات** أو **انخفاض في كمية التبوّل** – قد تكون هذه علامات لتخثر دم غير سليم في أوعية دم صغيرة (اعتلال الأوعية الدقيقة الخثاري). هناك ضرورة للانتباه الشديد لظهور هذه العلامات والأعراض، لأنّ تخثر دم غير سليم ممكن أن يشكل خطرًا على الحياة إذا لم يتم علاجه
- **حالات تقيؤ، يرقان** (اصفرار الجلد أو بياض العينين) أو **هبوط في اليقظة** – هذه قد تكون علامات لمشاكل محتملة في الكبد (بما في ذلك فشل في الكبد)
- **لون جلد رمادي شاحب أو أزرق، صعوبات في التنفس** (مثل تنفس سريع، ضيق تنفس)، **انتفاخ في الذراعين، الساقين أو في البطن** – هذه قد تكون علامات لمشاكل محتملة في القلب
- **سُعال، خرخرة (صفير)، عطس، سيلان الأنف، ألم حنجرة** أو **حمى** – هذه قد تكون علامات لحالة عدوى (مثل نزلة برد، إنفلونزا أو التهاب الشعب الهوائية)

# 3. بعد العلاج (تابع)

**تحدث فورًا مع الطاقم الطبيّ المُعالج لطفلك إذا تطوّر لدى طفلك أيّ أعراض جانبية إضافية. هذه ممكن أن تشمل:**

**شائعة جدًا** (ممكن أن تظهر لدى أكثر من شخص 1 من بين 10 أشخاص)

- ارتفاع في مستوى إنزيمات الكبد التي تظهر في فحوصات الدم

**شائعة** (ممكن أن تظهر لدى حتى شخص 1 من بين 10 أشخاص)

- حالات تقيؤ
- حمى

**بالإضافة إلى ذلك، عليك حتلنة الطاقم الطبي المعالج لطفلك في حالة تطوّر أحد الأعراض الجانبية التالية لدى طفلك** (ممكن أن تظهر لدى شخص 1 من بين 10 أشخاص)

- مستوى منخفض لصفائح الدم (قلة الصفائح الدموية)
- ارتفاع في مستوى البروتين تروبونين-I

**التبليغ عن الأعراض الجانبيّة:**

**إذا ظهرت أيّ أعراض جانبية لدى طفلك، أو إذا كنت تشعر بالقلق من احتمال حدوث مشكلة ما، تحدث مع طبيب/ة أو ممرض/ة طفلك فورًا**

هذا يشمل كل عرض جانبي محتمل مذكور أو غير مذكور في هذا المُرشد أو في النشرة للمستهلك المرفقة لهذا المُرشد

التبليغ عن الأعراض الجانبية

من الممكن تبليغ وزارة الصحّة عن أعراض جانبيّة من خلال الضغط على الرابط "التبليغ عن أعراض جانبيّة نتيجة لعلاج دوائي" الموجود على الصفحة الرئيسية في موقع وزارة الصحّة (www.health.gov.il) الذي يحوّلك إلى استمارة عبر الإنترنت للتبليغ عن الأعراض الجانبيّة، أو عبر دخول الرابط:
https://sideeffects.health.gov.il

بإمكانك أيضًا إبلاغ صاحب تسجيل المستحضر، نوفارتيس إسرائيل م.ض. على العنوان:
safetydesk.israel@novartis.com

من خلال التبليغ عن الأعراض الجانبية، بإمكانك المساهمة في تقديم معلومات إضافية حول سلامة هذا الدواء

## إعطاء كورتيكوستيرويدات بعد زولجنسيما

سيحصل طفلك على علاج بـ كورتيكوستيرويدات بشكل يومي لمدة ما يقارب الشهرين بعد إعطاءه زولجنسيما. من المحتمل تمديد هذه الفترة إذا لم تنخفض مستويات إنزيمات الكبد لدى طفلك بسرعة كافية، إلى أن تنخفض إنزيمات الكبد إلى مستوى مقبول. سيتّم تقليل جرعة الكورتيكوستيرويدات التي ستُعطى لطفلك بوتيرة بطيئة وتدريجيًا خلال هذه الفترة الزمنية إلى أن يصبح بالإمكان إيقاف العلاج تمامًا

سيقرر الطاقم الطبي المُعالج لطفلك وسيشرح لك متى وكيف سيوقفون هذا العلاج لطفلك. من أجل التأكد من عدم تفويت طفلك لجرعة الكورتيكوستيرويدات، أبلغ طبيب/ة أو ممرض/ة طفلك في حالة حدوث تقيؤ أو تفويت أي جرعات **(لأيّ سبب كان)** بعد العلاج بـ زولجنسيما

يُمنع إيقاف العلاج بالكورتيكوستيرويدات قبل إجراء محادثة مع طبيب/ة أو ممرض/ة طفلك

**إذا كانت لديك أسئلة بخصوص الكورتيكوستيرويدات، تحدث مع طبيب/ة أو ممرض/ة طفلك**

# 3. بعد العلاج (تابع)

## فحوصات متابعة منتظمة

بعد العلاج بـ زولجنسيما، سيبقى طفلك تحت متابعة طاقم طبي متخصص. سيحتاج طفلك التوجه إلى زيارات متابعة منتظمة بحسب اللزوم، سواء كان ذلك معدًا لفحوصات متابعة عامة، إذا ظهرت لديه أية أعراض جانبية أو إذا كانت لديك مخاوف أو أسئلة

العلاج المعتاد والمناسب لمرضى الضمور العضلي الشوكي - SMA، بما في ذلك علاج داعم، هو أمر ضروري وسيتم تقديمه لطفلك. من الضروري التحدث مع طبيب/ة طفلك فيما يتعلق بطريقة استمرار دعم الطاقم الطبي لطفلك

## فحوصات دم منتظمة

بعد العلاج بـ زولجنسيما سيخضع طفلك لفحوصات دم منتظمة لفحص:

- أداء وظائف الكبد – سيتّم إجراء هذه الفحوصات لمدة 3 أشهر على الأقل بعد العلاج من أجل مراقبة الارتفاعات في مستويات إنزيمات الكبد. إذا تفاقم أداء وظائف الكبد لدى طفلك بعد العلاج بـ زولجنسيما، أو إذا ظهرت عليه علامات مرض معين، فسيخضع إلى تقييم سريع ومتابعة عن كثب من قِبل الطبيب/ة
- تعداد صفائح الدم وتروبونين-I – سيتمّ إجراء هذه الفحوصات طيلة فترة زمنية معينة بعد العلاج لمراقبة التغييرات في مستويات صفائح الدم وتروبونين-I

بحسب نتائج فحوصات الدم هذه، وبحسب علامات وأعراض أخرى أيضًا، قد يتطلب الأمر إجراء فحوصات إضافية. من المهم الحرص على اتباع جدول زمني لفحوصات الدم والتبليغ فورًا للطاقم الطبي المُعالج لطفلك بخصوص جميع العلامات والأعراض التي ممكن أن تتطوّر عند طفلك بعد الحصول على العلاج

SMA, spinal muscular atrophy.

## معالجة إفرازات الجسم لدى طفلك

قسم من المادة الفعّالة في زولجنسيما ممكن أن يُفرز عن طريق الإفرازات الجسدية لطفلك بعد العلاج. لذلك عليك أنت والأشخاص الآخرين الذين يعالجون طفلك الحرص على نظافة يدين جيدة كما هو مفصّل فيما يلي **طيلة شهر واحد على الأقل** بعد علاج طفلك بواسطة زولجنسيما

**يجب ارتداء قفازات واقية** أثناء اللمس المباشر مع سوائل الجسم (البول) أو إفرازات (براز) طفلك

بعد ذلك، **يجب غسل اليدين جيدًا** بالماء الدافئ الجاري والصابون، أو بواسطة مستحضر لتعقيم اليدين على أساس كحول

**يجب استعمال كيسين من البلاستيك** للتخلص من الحفاظات المستعملة ومن نفايات أخرى. الحفاظات أحادية الاستعمال يمكن التخلص منها في النفايات المنزلية

**إذا كانت لديك أسئلة تتعلق بطريقة التعامل مع الإفرازات الجسدية لطفلك، تحدث من فضلك مع طبيب/ة أو ممرض/ة طفلك**

# 3. بعد العلاج (تابع)

## علاج داعم

على الرغم من أنّ زولجنسيما يزوّد نسخة فعّالة بشكل كامل من الجين *SMN*، إلا أنّ طفلك لا يزال يعاني من مرض الضمور العضلي الشوكي - SMA.

تشمل العلاجات الداعمة الأخرى التي تُستعمل في علاج مرضى الضمور العضلي الشوكي – SMA ما يلي:

علاجات تقويم العظام

علاج طبيعي (فيزيوترابيا)

دعم من خلال التغذية، الأكل والشرب

دعم تنفسي، مثلا بواسطة قناع للنوم

تجنب حالات عدوى في مسالك التنفس (مثل تجنب الإنفلونزا والالتهاب الرئوي بواسطة التطعيمات)

إزالة الإفرازات من مسالك التنفس

**سيعمل الطاقم الطبي المُعالج لطفلك سويًا معك، بحسب اللزوم، لضمان تلبية احتياجات العلاج الداعم لطفلك**

SMA, spinal muscular atrophy; SMN, survival motor neuron.

# متى يجب التوجه لحصول على علاج طبيّ

**يجب التوجه للحصول على علاج طبيّ طارئ في الحالات التالية:**

في حالات معينة، زولجنسيما ممكن أن يؤثر على أداء وظائف الكبد والتسبّب بإصابة في الكبد. العلامات المحتملة التي يجب عليك الانتباه إليها بعد إعطاء هذا الدواء لطفلك تشمل **حالات تقيؤ، يرقان** (إصفرار الجلد أو بياض العينين) أو **هبوط في اليقظة**

يستطيع زولجنسيما خفض تعداد الصفائح في الدم (قلة الصفائح الدموية). تحدث مع طبيب/ة طفلك إذا لاحظت علامات مثل **نزف دموي (كدمات)** أو **حالات نزيف** تستمر أطول من المعتاد إذا أصيب طفلك

يستطيع زولجنسيما زيادة خطر حدوث تخثر دم غير سليم في أوعية دموية صغيرة (اعتلال الأوعية الدقيقة الخثاري). أبلغ طبيب/ة طفلك فورًا إذا لاحظت علامات وأعراض مثل **أنزفة دم (كدمات) التي تتكوّن بسهولة، اختلاجات** أو **انخفاض في كمية التبوّل**

قد يؤدي زولجنسيما إلى ازدياد مستويات بروتين معين في القلب الذي يدعى تروبونين-I، وقد تشير هذه الظاهرة إلى وجود إصابة في القلب. تحدث مع طبيب/ة طفلك فورًا إذا لاحظت علامات وأعراض مثل **لون جلد رمادي شاحب أو أزرق، صعوبات في التنفس** (مثل تنفس سريع، ضيق تنفس) أو **انتفاخ في الذراعين، الساقين أو في البطن**

أبلغ الطبيب/ة في حالة حدوث **تقيؤ قبل أو بعد العلاج** بـ زولجنسيما من أجل التأكد من عدم تفويت طفلك لجرعة الكورتيكوستيرويدات (بريدنيزولون أو مستحضر يعادله)

أبلغ طبيب/ة طفلك فورًا إذا تطوّر لدى طفلك علامات وأعراض التي تشير إلى وجود حالة عدوى (مثل نزلة برد، إنفلونزا أو التهاب الشعب الهوائية) **قبل** أو **بعد** العلاج بـ زولجنسيما، لأنّ هذا الأمر ممكن أن يؤدي إلى مضاعفات أخرى أكثر خطورة التي قد تحتاج إلى علاج طبي طارئ. العلامات التي يجب الانتباه إليها هي **سُعال، خرخرة (صفير)، عطس، سيلان الأنف، ألم حنجرة** أو **حمى**

# تفاصيل التواصل مع الطبيب/ة

سيستمر الطاقم الطبي بمراقبة ومتابعة حالة طفلك بعد تسريب زولجنسيما. إذا كانت لديك أي مخاوف وترغب في التحدث مع طبيب/ة طفلك أو مع الطاقم الطبي المُعالج لطفلك، بإمكانك استعمال الاستمارة التالية لتسجيل تفاصيل التواصل معهم.

**الاسم:**
**الوظيفة:**
**رقم الهاتف للتواصل:**
**البريد الإلكتروني للتواصل:**

**الاسم:**
**الوظيفة:**
**رقم الهاتف للتواصل:**
**البريد الإلكتروني للتواصل:**

**الاسم:**
**الوظيفة:**
**رقم الهاتف للتواصل:**
**البريد الإلكتروني للتواصل:**

**الاسم:**
**الوظيفة:**
**رقم الهاتف للتواصل:**
**البريد الإلكتروني للتواصل:**

**الاسم:**
**الوظيفة:**
**رقم الهاتف للتواصل:**
**البريد الإلكتروني للتواصل:**

**الاسم:**
**الوظيفة:**
**رقم الهاتف للتواصل:**
**البريد الإلكتروني للتواصل:**

# جمعيات مرضى محلية

هنالك العديد من جمعيات مرضى في أنحاء العالم التي بإمكانها منح الدعم لك ولطفلك المُصاب بمرض الضمور العضلي الشوكي – SMA. بإمكان هذه الجمعيات تزويدك بمعلومات حول مرض الضمور العضلي الشوكي – SMA، أحدث الأبحاث ودعم مجتمعي. تحدث مع طبيب/ة طفلك أو مع الطاقم الطبيّ المُعالج لطفلك، الذين بإمكانهم تزويدك بمعلومات حول الجمعيات المحلية الموجودة في منطقتك





SMA, spinal muscular atrophy.

# مصطلحات شائعة

### الڤيروس المرتبط بالڤيروس الغدي رقم 9 (AAV9) Adeno-associated virus 9

Adeno-associated virus 9 (AAV9) هو نوع ڤيروس. الڤيروس AAV9 قابل للتعديل وبالتالي فإنه لا يسبّب المرض للإنسان. في زولجنسيما، AAV9 المعدّل هو حامل الجينات الذي يستخدم لنقل نسخة الجين *SMN* الفعّالة بشكل كامل

### أجسام مضادة

يقوم الجهاز المناعي في الجسم بإنتاج أجسام مضادة من أجل المساعدة في حمايته من الأمراض. كل نوع من الأجسام المضادة يعتبر فريدًا من نوعه ويحمي الجسم من نوع معين من الأمراض

### الضمور

الضمور معناه ترهل أو تقلص الكمية. على سبيل المثال، العضلة التي تترهل تدعى عضلة ضامرة

### جذع الدماغ

جذع الدماغ هو جزء في الدماغ الذي يدعم وظائف حيوية في الجسم، بما في ذلك التنفس والنوم. يوصل جذع الدماغ ما بين الحبل الشوكي وسائر مناطق الدماغ

### كورتيكوستيرويدات (الستيرويدات القشرية)

كورتيكوستيرويدات هو نوع دواء الذي يُثبط الجهاز المناعي من أجل محاولة المساعدة في التحكّم بارتفاع محتمل في إنزيمات الكبد بعد العلاج بـ زولجنسيما

### DNA، دي.إن.إي (الحمض الرّيبي النَّووي المنزوع الأوكسجين)

DNA (الحمض الرّيبي النَّووي المنزوع الأوكسجين) هو المادة الوراثية لدى البشر ولدى جميع الكائنات الحية الأخرى تقريبًا. تحتوي كل خلية تقريبًا في جسم الإنسان على نفس DNA

### الجينات

الجينات هي مجموعات من التعليمات التي تستطيع أن تعطي تعليمات للجسم حول كيفية إنتاج بروتينات. تأتي الجينات بأزواج؛ نسخة واحدة موروثة من كل واحد من الوالدين

### علاج جيني

العلاج الجيني هو طريقة لعلاج مرض أو لمنع تقدم مرض بواسطة الجينات. توجد أنواع مختلفة من العلاج الجيني التي تعمل بطرق مختلفة. وهي تشمل استبدال أو تصليح جينات ناقصة أو معطوبة؛ إضافة جين جديد من أجل مساعدة دواء آخر على العمل أفضل بكثير؛ أو إيقاف التعليمات من جين الذي يُنتج فائضًا من بروتين معين، الذي يتحول إلى سام للجسم

### مرض وراثي

حالة طبيّة التي تحدث نتيجة نقص أو خلل في جين معين، أو جينات ناقصة أو معطوبة. الأمراض الوراثية هي أمراض تنتقل بالوراثة. مرض الضمور العضلي الشوكي – SMA هو مثال لمرض وراثي

### تسريب داخل الوريد

التسريب داخل الوريد بواسطة قسطرة (أنبوب بلاستيكي)، الذي يتمّ إدخاله إلى الوريد بواسطة استخدام إبرة

### خلية عصبية حركية (عصب حركي)

تحمل هذه الأعصاب الخاصة إشارات من الدماغ إلى العضلات بهدف التحكم بالحركة.

يوجد نوعان من الخلايا العصبية الحركية: خلايا عصبية حركية عليا التي تحمل إشارات من الدماغ إلى جذع الدماغ وإلى الحبل الشوكي، وخلايا عصبية حركية سفلية التي تحمل إشارات من الخلايا العصبية الحركية العليا إلى العضلات

### صفائح الدم

نوع من الخلايا الموجود في الدم، والمسؤول عن تخثر الدم

### بريدنيزولون

بريدنيزولون هو نوع من الأدوية الذي يدعى الكورتيكوستيرويدات، الذي يساعد في التحكم بارتفاع محتمل في إنزيمات الكبد بعد العلاج بـ زولجنسيما

### بروتينات

البروتينات هي جزيئات مهمة التي تشارك تقريبًا في كل وظيفة في الجسم. تساعد البروتينات في بناء خلايا الجسم، كما وتساعد الخلايا أيضًا في نقل وإنتاج مواد مهمة، وفي تصليح عيوب والبقاء على قيد الحياة

### عارض جانبي

العارض الجانبي هو عارض ثانوي للدواء، وعادة غير مرغوب به

### مرض الضمور العضلي الشوكي (SMA)

مرض الضمور العضلي الشوكي - SMA هو مرض نادر الذي يؤدي إلى ضعف العضلات بشكل تدريجي بسبب توقف عمل خلايا عصبية مخصصة في الجسم التي تتحكم في حركة العضلات، والتي تدعى خلايا عصبية حركية. تتدهور هذه الخلايا العصبية الحركية وتتوقف عن العمل بسبب نقص في بروتين SMN

### جين بقاء الخلايا العصبية الحركية رقم 1 (*SMN1*)

الجين *SMN1* هو الجين *SMN* الأساسي الذي يُنتج البروتين SMN الضروري للخلايا العصبية الحركية من أجل أن تعمل بصورة سليمة. لدى المصابين بمرض الضمور العضلي الشوكي – SMA، كلا النسختين من هذا الجين إما معطوبة أو ناقصة. هذا يعني أنّ خلايا الجسم غير قادرة على إنتاج البروتين SMN بكمية كافية

### جين بقاء الخلايا العصبية الحركية رقم 2 (*SMN2*)

يعمل الجين *SMN2* "كاحتياطي" لدعم إنتاج البروتين SMN. الجين *SMN2* يُنتج البروتين SMN فعّال، بكميات صغيرة فقط

### بروتين بقاء الخلايا العصبية الحركية - Survival motor neuron (SMN)

بروتين SMN ضروري لعمل الخلايا العصبية الحركية بشكل سليم ولبقائها على قيد الحياة. بدون وجود البروتين SMN بكمية كافية، تتدهور الخلايا العصبية الحركية وتتوقف عن العمل. يُنتج الجسم بروتين SMN بواسطة الجين *SMN*

# ملاحظات

تمت المصادقة على هذا المُرشد وعلى محتواه بموجب تعليمات وزارة الصحة في تاريخ تشرين الأول 2024.

صاحب التسجيل والمستورد: نوڤارتيس إسرائيل م.ض.، شارع توتسيرت هآرتس 6،
ص.ب. 7126، تل أبيب.
هاتف: 03-9201111

تمّ إصدار هذا المُرشد من قِبل نوڤارتيس إسرائيل م.ض. المعلومات المقدمة هنا معدّة لغرض الإرشاد فقط وليست معدّة لاستبدال محادثات مع الطبيب/ة أو مع الطاقم الطبي المُعالج. تتعلق هذه المعلومات بالضمور العضلي الشوكي كنظرة عامة.

2024 © Novartis.
جميع الحقوق محفوظة.

لتبسيط قراءة هذا المُرشد وتسهيلها ورد النصّ بصيغة المذكّر. على الرغم من أنّ الأمور المذكورة موجهة للأهل وللمُعالجين من كلا الجنسين، الدواء زولجنسيما معدّ لكلا الجنسين.

RMP 2024-009-ARB

NOVARTIS

DOR-Zol-Caregiver guide-BR-ARB-0924-10