

זולג'נסמה מדריך להורים / למטפלים

קיבלת מדריך זה מהרופא/ה של ילדך מאחר שלילדך נרשם טיפול
בתכשיר זולג'נסמה. מטרתו של מדריך זה לספק מידע מעשי שיתמוך
בשיחות עם הרופא/ה. יש לקרוא את המדריך יחד עם העלון לצרכן של
התכשיר אותו קיבלת עבור תרופה זו

אם ילדך חווה תופעות לוואי, שוחח עם הרופא/ה או האח/ות של ילדך,
לרבות כל תופעת לוואי אפשרית שאינה מצוינת במדריך זה או בעלון
לצרכן שניתן יחד עם מדריך זה

**אם יש לך שאלות או חששות לגבי זולג'נסמה, שוחח עם הרופא/ה
או האח/ות של ילדך**

מדריך זה פותח לצורך מתן מידע שימושי המתמקד ב:

- מהי מחלת ניוון שרירים שדרתי (SMA)
- מהי זולג'נסמה וכיצד היא פועלת
- מידע בסיסותי חשוב ותופעות לוואי אפשריות של זולג'נסמה
- כל שלב במסע הטיפול בזולג'נסמה

אם יש לך שאלות או חששות לגבי תרופה זו או בריאותו ורווחתו של ילדך, אנא שוחח עם הרופא/ה או האח/ות של ילדך

פרטי קשר שימושיים

תוכן המדריך

4	אודות מחלת ניוון שרירים שדרתי (SMA)
4	• מהי מחלת ניוון שרירים שדרתי (SMA)?
5	• מהם הסוגים השונים של מחלת ניוון שרירים שדרתי (SMA)?
6	• מה גורם למחלת ניוון שרירים שדרתי (SMA)?
7	• כיצד לוקים במחלת ניוון שרירים שדרתי (SMA)?
8	אודות זולג'נסמה
8	מהי זולג'נסמה?
9	זולג'נסמה במחלת ניוון שרירים שדרתי (SMA) מתקדמת
10	הבנת הסיכונים של זולג'נסמה
	מדוע בטיחותי חשוב ותופעות לוואי אפשריות של זולג'נסמה
15	טיפול בזולג'נסמה
16	• לפני הטיפול
18	• יום הטיפול
19	• לאחר הטיפול
25	מתי לפנות לטיפול רפואי
26	פרטי קשר של הרופא/ה
27	עמותות חולים מקומיות
28	מונחים נפוצים
	הגדרות שימושיות למונחים בהם נעשה שימוש במדריך זה
30	הערות

מהי מחלת ניוון שרירים שדרתי (SMA)?

מחלת ניוון שרירים שדרתי (SMA) היא מחלה תורשתית נדירה שבה מתרחש אובדן עצבים, אשר גורם לחולשת שרירים. הדבר מתרחש מאחר שתאי עצב (נוירונים) מיוחדים בגוף השולטים בתנועת השרירים, המכונים עצבים מוטוריים, מתנוונים ומפסיקים לפעול.

אותות מגיעים מהמוח

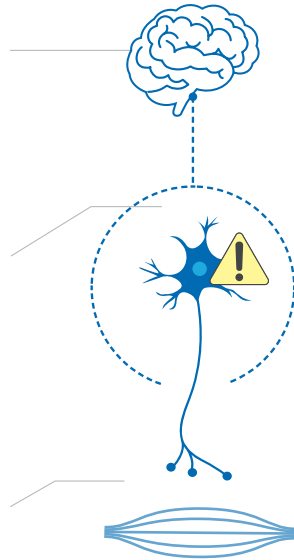
באנשים הסובלים ממחלת SMA, האותות המובילים לתנועת שרירים עדיין נוצרים במוח.

עצבים מוטוריים מפסיקים לפעול

עם זאת, גן פגום גורם לתאי עצב מיוחדים, המכונים עצבים מוטוריים, אשר נושאים אותות מחוט השדרה לשרירים, להפסיק לפעול. משמעות הדבר שהאותות לתנועה הנשלחים מהמוח אינם מסוגלים להגיע לשרירים.

שרירים מוחלשים

אם השרירים אינם מקבלים עוד אותות המורים להם לנוע, הם הולכים ונחלשים (מתנוונים).



במחלת SMA, היכולת לחשוב, ללמוד ולבנות מערכות יחסים אינה משתנה



מהם התסמינים של מחלת ניוון שרירים שדרתי (SMA)?

מחלת ניוון שרירים שדרתי (SMA) מציגה מגוון תסמינים העשויים להשתנות מאדם לאדם וכן במידת חומרתם. מחלת SMA עלולה להשפיע על פעילויות יומיומיות כגון נשימה, אכילה, ישיבה, זחילה והליכה. ככל שהופעת התסמינים של מחלת SMA היא מוקדמת יותר, כך המחלה צפויה להיות חמורה יותר.

מהם הסוגים השונים של מחלת ניוון שרירים שדרתי (SMA)?

במועד האבחון, ניתן לסווג את האנשים הסובלים ממחלת SMA לסוגים שונים בהסתמך על גילם במועד הופעת המחלה ויכולתם התפקודית המקסימלית, או "אבן הדרך המוטורית". אבני הדרך המוטוריות הרלוונטיות להבנת הסוג של מחלת SMA ממנו הילדים עלולים לסבול כוללות את יכולתם:



לזחול



לאחוז משהו בכף היד



להרים את הראש



לעמוד וללכת



להתהפך



לשבת

גיל במועד הופעת המחלה	לידה	≤ 6 חודשים	6-18 חודשים	< 18 חודשים	≤ 18 שנים
יכולת תפקודית	ייתכן כי העובר נפגע טרם הלידה	אינו מסוגל לשבת באופן עצמאי	מסוגל לשבת, עשוי לעמוד, אינו מסוגל ללכת באופן עצמאי	הליכה עצמאית	הליכה עצמאית עד גיל הבגרות
סיווג	SMA סוג 0	SMA סוג 1	SMA סוג 2	SMA סוג 3	SMA סוג 4
חומרה	הופעה מוקדמת יותר, מחלה חמורה יותר הופעה מאוחרת יותר, מחלה פחות חמורה				

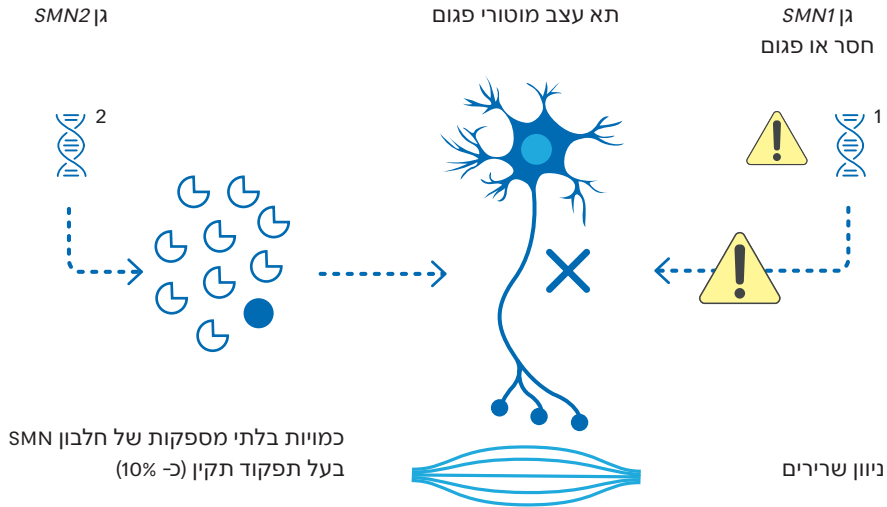
ללא התערבות או טיפול, ילדים עם צורות חמורות יותר של מחלת SMA הם בעלי תוחלת חיים קצרה יותר. עם התערבות רפואית וטיפול מוקדמים, ניתן להאט את ההתדרדרות, ולעתים תכופות הילדים מסוגלים להשיג אבני דרך הנצפות במקרים נדירים במהלך הטבעי של המחלה

מה גורם למחלת ניוון שרירים שדרתי (SMA)?

חלבון המכונה חלבון שרידות עצבים מוטוריים (SMN) הוא חיוני לפעילותם התקינה של עצבים מוטוריים. ללא חלבון SMN, עצבים מוטוריים בחוט השדרה מפסיקים לפעול והשרירים נחלשים.

החלבון SMN מיוצר בגוף בעזרת הגנים ל-SMN

במחלת SMA, גן SMN העיקרי הידוע כ-SMN1 הוא פגום או חסר. קיים גן SMN שני הידוע כ-SMN2, אשר פועל יותר כ"גיבוי" ומייצר כמויות קטנות בלבד של החלבון SMN. במחלת SMA, החלבון SMN מיוצר בכמות בלתי מספקת, והעצבים המוטוריים מפסיקים לפעול, תופעה הגורמת להיחלשות השרירים



חלבון SMN בעל תפקוד לקוי

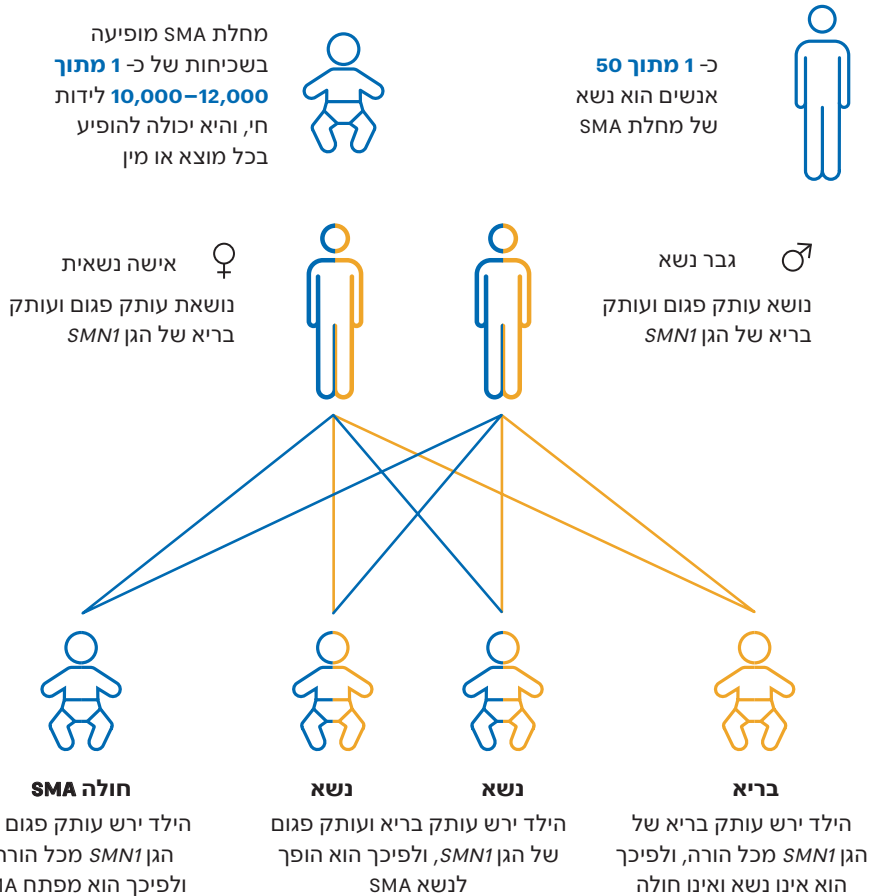
חלבון SMN בעל תפקוד תקין

כיצד לוקים במחלת ניוון שרירים שדרתי (SMA)?

מחלת ניוון שרירים שדרתי (SMA) היא בדרך כלל מחלה תורשתית, אם כי לעיתים היא נגרמת על ידי טעות אקראית בגן *SMN1*

ילדים יורשים שני עותקים של הגן *SMN1*, עותק אחד מכל הורה. מחצית מהמידע הגנטי של הילד מגיעה מהאם והמחצית השנייה מגיעה מהאב

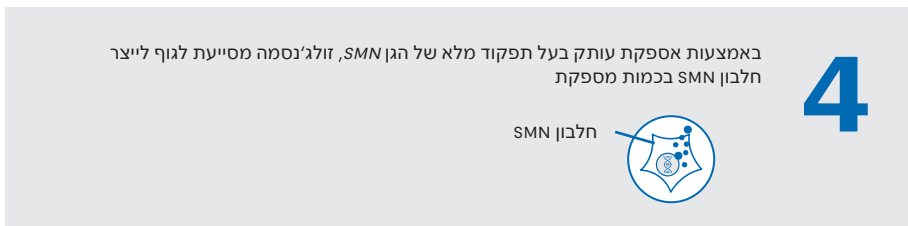
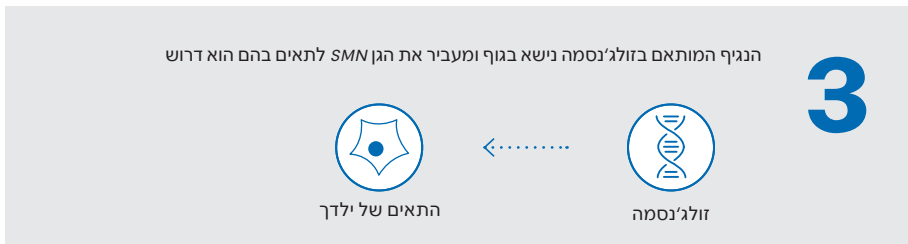
אנשים עם גן *SMN1* אחד בריא וגן *SMN1* אחד פגום ידועים כנשאים. הם בדרך כלל אינם מציגים סימנים של מחלת SMA. אם שני ההורים נשאים, למעשה קיים סיכוי של 25% לכך שהתינוק יירש ויפתח מחלת SMA



מהי זולג'נסמה?

**זולג'נסמה היא טיפול לתינוקות ולילדים צעירים עם ניוון שרירים שדרתי (SMA).
זולג'נסמה היא סוג של טיפול המכונה "ריפוי גנטי"**

זולג'נסמה מורכבת מנגיף מותאם, נגיף הקשור לאדנו מס' 9 (AAV9), המכיל עותק בעל תפקוד מלא של הגן *SMN* (הגן הפגום במחלת SMA). הנגיף AAV9 בזולג'נסמה משמש כנשא המעביר את הגן החלופי לתוך הגוף ולתוך התאים בהם הוא דרוש



זולג'נסמה במחלת ניוון שרירים שדרתי (SMA) מתקדמת

זולג'נסמה יכולה להציל עצבים מוטוריים אשר עדיין חיים ומסוגלים לגדול, אך לא עצבים מוטוריים מתים. לילדים עם תסמיני SMA פחות חמורים, עשויה להיות כמות מספקת של עצבים מוטוריים חיים על מנת להפיק תועלת מהטיפול בזולג'נסמה. ייתכן כי זולג'נסמה לא תהיה יעילה באותה מידה בילדים עם תסמינים חמורים

הבנת הסיכונים של זולג'נסמה

בדומה לכל תרופה, זולג'נסמה עלולה לגרום לתופעות לוואי, אם כי לא כל אחד מפתח אותן



אם ילדך חווה תופעות לוואי כלשהן, שוחח עם הרופא/ה או האח/ות של ילדך מייד

מידע בטיחותי חשוב ומתי יש לפנות לטיפול רפואי

בעיות כבד



דווח לצוות הרפואי של ילדך טרם מתן תרופה זו לילדך אם ילדך סובל או סבל מבעיות כבד כלשהן. בחלק מהמקרים, זולג'נסמה יכולה לגרום לתגובה חיסונית העלולה להוביל לעלייה באנזימים (חלבונים הנמצאים בגוף) המיוצרים על ידי הכבד או לפגיעה בכבד

פגיעה בכבד עלולה להוביל לתוצאות חמורות, לרבות אי ספיקת כבד ומוות. סימנים אפשריים אליהם עליך לשים לב לאחר מתן תרופה זו לילדך כוללים הקאות, צהבת (הצהבת העור או לובן העיניים) או ירידה בערנות. דווח לרופא/ה של ילדך מייד אם תבחין בהתפתחות תסמינים כלשהם המעידים על פגיעה בכבד אצל ילדך

קרישת דם בלתי תקינה



זולג'נסמה עלולה להגביר את הסיכון לקרישת דם בלתי תקינה בכלי דם קטנים (מיקרואנגיופטיה תרומבוטית), בדרך כלל בטווח של השבועיים הראשונים לאחר הטיפול בזולג'נסמה. קרישי דם אלה עלולים להשפיע על הכליות של ילדך. דווח לרופא/ה של ילדך מייד אם אתה מבחין בסימנים ובתסמינים כגון שטפי דם (חבורות) הנוצרים בקלות, פרכוסים או ירידה במתן שתן

נדרשת תשומת לב קפדנית ביותר לסימנים ותסמינים אלה, מאחר שקרישת דם בלתי תקינה (מיקרואנגיופטיה תרומבוטית) היא חמורה ועלולה להיות מסכנת חיים אם אינה מטופלת

ספירת טסיות נמוכה

זולג'נסמה יכולה להפחית את ספירת הטסיות בדם (תרומבוציטופניה), בדרך כלל בטווח של 3 השבועות הראשונים לאחר הטיפול בזולג'נסמה. סימנים אפשריים של ספירת טסיות נמוכה בדם אליהם עליך לשים לב לאחר מתן זולג'נסמה לילדך כוללים שטפי דם (חבורות) או דימומים חריגים



שוחח עם הרופא/ה אם אתה מבחין בסימנים כגון שטפי דם (חבורות) או דימומים ממושכים יותר מהרגיל אם ילדך נפצע

עלייה בטרופונין-I

זולג'נסמה יכולה להגביר את הרמות של חלבון לב המכונה טרופונין-I (טרופונין אי), תופעה העלולה להעיד על פגיעה בלב. עליך לשים לב לסימנים אפשריים של בעיות לב לאחר מתן זולג'נסמה לילדך, כגון צבע עור חיוור אפור או כחול, קושי בנשימה (כגון נשימה מהירה, קוצר נשימה), נפיחות בזרועות וברגליים או בבטן



ילדך יעבור בדיקות דם לבדיקת תפקודי הכבד, תפקודי הכליות, ספירת תאי דם (לרבות תאי דם אדומים וטסיות) ורמת טרופונין-I סרם הטיפול בזולג'נסמה

במשך לפחות 3 חודשים לאחר הטיפול, ילדך יעבור בדיקות דם סדירות לבדיקת תפקוד הכבד ולניטור שינויים ברמות הטסיות וטרופונין-I. בהתאם לערכים, לסימנים ותסמינים אחרים, ייתכן כי תידרשנה הערכות נוספות. משך הבדיקות ייקבע על ידי הרופא/ה של ילדך

למידע נוסף על זולג'נסמה, אנא עיין בעלון לצרכן שניתן לך. אל תהסס לשוחח עם הצוות הרפואי של ילדך אם יש לך שאלות

הבנת הסיכונים של זולג'נסמה (המשך)

בדומה לכל תרופה, זולג'נסמה עלולה לגרום לתופעות לוואי, אם כי לא כל אחד מפתח אותן



אם ילדך חווה תופעות לוואי כלשהן, שוחח עם הרופא/ה או האח/ות של ילדך מיידי

אלרגיות

אין לתת לילדך זולג'נסמה אם הוא אלרגי לאחד המרכיבים (מרכיבים המפורטים בסעיף 6 של עלון המידע לצרכן אשר ניתן לך יחד עם מדריך זה)



קורטיקוסטרואידים

כמו כן, ילדך יקבל קורטיקוסטרואידים (פרדניזולון או תכשיר מקביל אחר) למשך פרק זמן מסוים לפני ואחרי הטיפול בזולג'נסמה. משך המתן של קורטיקוסטרואידים לילדך לאחר הטיפול בזולג'נסמה ישתנה בהתאם לערכי אנזימי הכבד ולסימנים ותסמינים אחרים, וייקבע על ידי הרופא/ה של ילדך. פרק זמן זה יהיה לפחות חודשיים



קורטיקוסטרואידים יסייעו בשליטה בעלייה אפשרית באנזימי כבד העלולה להתפתח אצל ילדך בעקבות תגובה חיסונית לזולג'נסמה. מינון הקורטיקוסטרואידים שיינתן לילדך יחושב על ידי הרופא/ה של ילדך בהתאם למשקלו

במהלך מתן קורטיקוסטרואידים, ילדך עלול להיות חשוף לזיהומים חדשים או למחלות ילדים רגילות אחרות העלולות לדרוש שימוש בתרופות אחרות. טרם הטיפול בתרופות אחרות, או אם יש לך שאלות לגבי קורטיקוסטרואידים, חשוב להתייעץ עם הרופא/ה או האח/ות של ילדך

תרופות אחרות וזולג'נסמה

זולג'נסמה תינתן לילדך פעם אחת בלבד. דווח לרופא/ה או לאחות/ות של ילדך אם ילדך נוטל, נטל לאחרונה או עשוי ליטול תרופות אחרות



זיהום



ילדך עלול להיות בעל מערכת חיסון מוחלשת בשל הטיפול בקורטיקוסטרואידים; משמעות הדבר היא כי זיהומים איתם אנשים בריאים בדרך כלל יכולים להתמודד עלולים לגרום למחלה חמורה אצל ילדך. אם ילדך מפתח זיהום (כגון הצטננות, שפעת או ברונקיוליטיס (דלקת סמפונות)) **לפני** או **אחרי** הטיפול בזולג'נסמה, הדבר עלול להוביל לסיבוכים אחרים חמורים יותר העלולים לדרוש טיפול רפואי דחוף

עליך לדווח לרופא/ה של ילדך מייד אם אתה מבחין שילדך מפתח סימנים ותסמינים כלשהם המעידים על זיהום **לפני** או **אחרי** הטיפול בזולג'נסמה, כגון:

- שיעול
- התעטשות
- כאב גרון
- צפצופים
- נזלת
- חום

חשוב למנוע זיהומים לפני ולאחר הטיפול בזולג'נסמה באמצעות הימנעות ממצבים העלולים להגביר את הסיכון של ילדך לפתח זיהומים. אתם ואנשים אחרים הנמצאים בקשר הדוק עם ילדך יכולים לסייע במניעת זיהומים באמצעות הקפדה על היגיינת ידיים נאותה, התנהלות נאותה בעת שיעול/התעטשות, התייעצות עם הרופא/ה של ילדך לפני ביצוע ברית מילה והגבלת מגע פוטנציאלי

הבנת הסיכונים של זולג'נסמה (המשך)

חיסונים

מאחר שקורטיקוסטרואידים יכולים להשפיע על מערכת החיסון, הרופא/ה של ילדך עשוי להחליט על דחיית מתן חיסונים מסוימים לילדך כאשר הוא מקבל טיפול בקורטיקוסטרואידים. שוחח עם הרופא/ה או האח/ות של ילדך אם יש לך שאלות



טיפול בזולג'נסמה

השלבים שבעמודים הבאים יעזרו לך ולבני משפחתך להבין למה לצפות בהמשך

לפני הטיפול



יום הטיפול



לאחר הטיפול



1. לפני הטיפול

לצורך החלטה האם זולג'נסמה מתאימה לילדך, הרופא/ה של ילדך י/תבצע בדיקות לנוגדנים טרם הטיפול

בדיקת נוגדנים לנגיף קשור לאדנו מס' 9 (AAV9)



נוגדנים מיוצרים על ידי מערכת החיסון של הגוף על מנת לסייע בהגנתו מפני מחלות. נוכחותם של נוגדנים מסוימים, המכונים נוגדנים ל-AAV9, יכולה לגרום לילדך לפתח תגובה חיסונית לזולג'נסמה. לסייע בהחלטה האם זולג'נסמה מתאימה לילדך, הרופא/ה של ילדך י/תבצע בדיקות לנוגדנים טרם הטיפול

ילדך עשוי להדגים רמות מוגברות של נוגדנים ל-AAV9. אם התינוק רק נולד, ייתכן כי הנוגדנים הועברו מהאם לתינוק במהלך ההיריון. לעיתים תכופות, רמות הנוגדנים המוגברות יורדות לאורך זמן לאחר הלידה. אם ילדך מדגים רמות מוגברות של נוגדנים ל-AAV9 לאחר הבדיקה הראשונה, ייתכן כי הוא יהיה כשיר לבדיקה חוזרת לאחר פרק זמן מסוים. אם יש לך שאלות, אנא פנה לרופא/ה של ילדך

בדיקות דם



טרם הטיפול בזולג'נסמה, ילדך יעבור בדיקות דם כדי לבדוק ולקבוע רמות התחלתיות עבור:

- תפקודי הכבד
- תפקודי הכליות
- ספירת תאי דם (לרבות תאי דם אדומים וטסיות)
- רמת טרופונין-I

מידודות אלו תעזורנה לרופא/ה בניטור המדדים של ילדך לאחר הטיפול בזולג'נסמה

קורטיקוסטרואידים



24 שעות לפני הטיפול בזולג'נסמה, ילדך יקבל קורטיקוסטרואידים (פרדניזולון או תכשיר מקביל אחר) לשליטה בעליות פוטנציאליות באנזימי כבד

מינון הקורטיקוסטרואידים שיינתן לילדך יחושב על ידי הרופא/ה של ילדך בהתאם למשקלו. על מנת לוודא שילדך לא יחמיץ את מנת הקורטיקוסטרואידים, דווח לרופא/ה או לאח/ות של ילדך במקרה של הקאה לפני הטיפול בזולג'נסמה

זיהום



חשוב ליידע את הרופא/ה או האח/ות של ילדך מייד אם ילדך מפתח תסמינים המעידים על זיהום **לפני** או **אחרי** מתן זולג'נסמה. אם ילדך מפתח לפני הטיפול בזולג'נסמה סימנים ותסמינים כלשהם המעידים על זיהום, ייתכן כי יהיה צורך בדחיית העירוי עד אשר הזיהום יחלוף. אם ילדך מפתח תסמינים לאחר הטיפול בזולג'נסמה, הדבר עלול להוביל לסיבוכים רפואיים העלולים לדרוש טיפול רפואי דחוף

ראה עמוד 13 בנוגע לסימנים של זיהום אפשרי

מצב הבריאות הכללי



טרם קבלת הטיפול בזולג'נסמה, חשוב שמצבו הבריאותי הכללי של ילדך יהיה הולם, אחרת ייתכן כי יהיה צורך בדחיית הטיפול. הדבר כולל שמירה על מאזן נוזלים תקין (הידרציה), תזונה טובה והיעדר זיהומים פעילים כלשהם. אם יש לך חששות לגבי מצבו הבריאותי הכללי של ילדך טרם הטיפול בזולג'נסמה, אנא שוחח עם הרופא/ה או האח/ות של ילדך

2. יום הטיפול

הצוות הרפואי של ילדך יודא שאתם יודעים בדיוק למה לצפות ביום הטיפול וכיצד להתכונן אליו

פרדניזולון



המנה הראשונה של קורטיקוסטרואידים פומיים, דרך הפה (פרדניזולון או תכשיר מקביל אחר) תינתן לילדך 24 שעות לפני קבלת הטיפול בזולג'נסמה. [ראה עמוד 17](#) בנוגע למידע על מתן קורטיקוסטרואידים לפני הטיפול בזולג'נסמה

ביום הטיפול, ילדך יקבל את המנה השנייה של קורטיקוסטרואידים פומיים דרך הפה (פרדניזולון או תכשיר מקביל אחר) על פי המרשם. משטר המינון של קורטיקוסטרואידים חשוב לשליטה בעליות פוטנציאליות באנזימי כבד, והוא יימשך למשך פרק זמן מסוים לאחר הטיפול. [ראה עמוד 21](#) למידע על מתן קורטיקוסטרואידים לאחר הטיפול בזולג'נסמה

על מנת לוודא שילדך לא יחמיץ את מנת הקורטיקוסטרואידים, דווח לרופא/ה או לאח/ות של ילדך במקרה של הקאה לאחר מתן מנת הקורטיקוסטרואידים

זולג'נסמה תינתן לילדך פעם אחת בלבד



עירוי זולג'נסמה

זולג'נסמה תינתן לילדך באמצעות עירוי תוך-ורידי יחיד. הדבר כרוך בהחדרת צנתר (צינורית פלסטיק) לתוך אחד הוורידים של ילדך תוך שימוש במחט. כמו כן, יוחדר צנתר גיבוי משני במקרה של חסימה בצנתר העיקרי. העירוי יינתן על ידי רופא/ה או אח/ות בעלי הכשרה בטיפול ב-SMA. העירוי יימשך כ- 60 דקות



הכמות של זולג'נסמה שתינתן לילדך תחושב על ידי הרופא/ה של ילדך בהתאם למשקלו

3. לאחר הטיפול



משך האשפוז לאחר הטיפול בזולג'נסמה ייקבע על ידי הרופא/ה של ילדך. אם יש לך שאלות, שוחח עם הצוות הרפואי של ילדך

תופעות לוואי אפשריות

בדומה לכל תרופה, תרופה זו עלולה לגרום לתופעות לוואי, אם כי לא כל אחד מפתח אותן

יש לפנות לטיפול רפואי דחוף אם ילדך מפתח אחת מתופעות הלוואי החמורות או אחד מהתסמינים החמורים שלהלן:



- **שטפי דם (חבורות) או דימומים** ממושכים יותר מהרגיל אם ילדך נפצע – אלה עלולים להיות סימנים של ספירת טסיות נמוכה בדם (תרומבוציטופניה)
- **שטפי דם (חבורות) הנוצרים בקלות, פרכוסים או ירידה במתן שתן** – אלה עלולים להיות סימנים של קרישת דם בלתי תקינה בכלי דם קטנים (מיקרואנגיופתיה תרומבוטית). נדרשת תשומת לב קפדנית ביותר לסימנים ותסמינים אלה, מאחר שקרישת דם בלתי תקינה עלולה להיות מסכנת חיים אם אינה מטופלת
- **הקאות, צהבת** (הצהבת העור או לובן העיניים) או **ירידה בערנות** – אלה עלולים להיות סימנים של בעיות כבד אפשריות (לרבות אי ספיקת כבד)
- **צבע עור חיוור אפור או כחול, קושי בנשימה** (כגון נשימה מהירה, קוצר נשימה), **נפיחות בזרועות, ברגליים או בבטן** – אלה עלולים להיות סימנים של בעיות לב אפשריות
- **שיעול, צפצופים, התעטשות, נזלת, כאב גרון או חום** – אלה עלולים להיות סימנים של זיהום (כגון הצטננות, שפעת או ברונכיוליטיס (דלקת סמפונות))

3. לאחר הטיפול (המשך)

שוחח עם הצוות הרפואי של ילדך מייד אם ילדך מפתח תופעות לוואי נוספות כלשהן. אלו יכולות לכלול:

שכיחות מאוד (עלולות להופיע ביותר מ-1 מתוך 10 אנשים)

- עליות באנזימי כבד הנצפות בבדיקות דם

שכיחות (עלולות להופיע בעד 1 מתוך 10 אנשים)

- הקאות
- חום

בנוסף, עדכן את הצוות הרפואי של ילדך במידה וילדך מפתח את אחת מתופעות הלוואי הבאות (עלול להופיע ב-1 מתוך 10)

- תרומבוציטופניה (רמת טסיות נמוכה)
- עלייה ברמת החלבון טרופונין-I

דיווח על תופעות לוואי:

אם ילדך חווה תופעות לוואי כלשהן, או אם אתה חושש שיתכן כי משהו השתבש, שוחח עם הרופא/ה או האח/ות של ילדך מייד

הדבר כולל כל תופעת לוואי אפשרית המצוינת או שאינה מצוינת במדריך זה או בעלון לצרכן המצורף למדריך זה

דיווח על תופעות לוואי

ניתן לדווח על תופעות לוואי למשרד הבריאות באמצעות לחיצה על הקישור "דיווח על תופעות לוואי עקב טיפול תרופתי" שנמצא בדף הבית של אתר משרד הבריאות (www.health.gov.il) המפנה לטופס המקוון לדיווח על תופעות לוואי, או על ידי כניסה לקישור <https://sideeffects.health.gov.il>

כמו כן, אתה יכול לדווח לבעל רישום התכשיר, נוברטיס ישראל בע"מ ב: safetydesk.israel@novartis.com

באמצעות דיווח על תופעות לוואי, באפשרותך לסייע במתן מידע נוסף על בטיחותה של תרופה זו



מתן קורטיקוסטרואידים לאחר זולג'נסמה

ילדך יקבל טיפול בקורטיקוסטרואידים על בסיס יומיומי במשך כחודשיים לאחר מתן זולג'נסמה. ייתכן כי פרק זמן זה יוארך אם הירידה באנזימי הכבד של ילדך לא תהיה מהירה דיה, עד אשר אנזימי הכבד ירדו לרמה סבירה. מינון הקורטיקוסטרואידים שיינתן לילדך יופחת בקצב איטי ובהדרגתיות במהלך פרק זמן זה עד אשר ניתן יהיה להפסיק את הטיפול לחלוטין.

אנשי הצוות הרפואי של ילדך יחליטו ויסבירו מתי וכיצד הם יפסיקו טיפול זה בילדך. על מנת לוודא שילדך לא יחמיץ את מנת הקורטיקוסטרואידים, דווח לרופא/ה או לאח/ות של ילדך במקרה של הקאה או מנות שהוחמצו **(מכל סיבה שהיא)** לאחר הטיפול בזולג'נסמה. **אין להפסיק את הטיפול בקורטיקוסטרואידים לפני שיחה עם הרופא/ה או האח/ות של ילדך**



אם יש לך שאלות לגבי קורטיקוסטרואידים, שוחח עם הרופא/ה או האח/ות של ילדך

3. לאחר הטיפול (המשך)

בדיקות מעקב סדירות



לאחר הטיפול בזולג'נסמה, ילדך ימשיך להיות תחת מעקב של צוות רפואי ייעודי. ילדך יזדקק לביקורי מעקב סדירים לפי הצורך, בין אם הם מיועדים לבדיקות מעקב כלליות, אם ילדך חווה תופעות לוואי כלשהן או אם יש לך חששות או שאלות

טיפול מקובל הולם עבור חולי SMA, לרבות טיפול תומך, הוא הכרחי וייתן לילדך חשוב לשוחח עם הרופא/ה של ילדך לגבי אופן המשך התמיכה בילדך על ידי הצוות הרפואי

בדיקות דם סדירות

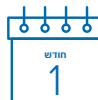


לאחר הטיפול בזולג'נסמה, ילדך יעבור בדיקות דם סדירות לבדיקות:

- תפקודי הכבד – בדיקות אלו תבוצענה במשך 3 חודשים לפחות אחרי הטיפול לצורך ניטור עליות באנזימי כבד. אם תפקוד הכבד של ילדך מחמיר לאחר הטיפול בזולג'נסמה, או אם הוא יראה סימני מחלה כלשהם, הוא יעבור הערכה מהירה ומעקב צמוד על ידי הרופא/ה
 - ספירת טסיות בדם וטרופונין-I – בדיקות אלו תבוצענה במשך פרק זמן מסוים לאחר הטיפול לניטור שינויים ברמות הטסיות וטרופונין-I
- בהתאם לתוצאות של בדיקות דם אלו, וכן בהתאם לסימנים ותסמינים אחרים, ייתכן כי תידרשנה בדיקות נוספות. חשוב להקפיד על לוח זמני בדיקות הדם ולדווח מייד לצוות הרפואי של ילדך על כל הסימנים והתסמינים העלולים להתפתח אצל ילדך לאחר קבלת הטיפול

טיפול בהפרשות הגוף של ילדך

חלק מהחומר הפעיל בזולג'נסמה עשוי להיות מופרש בהפרשות הגוף של ילדך לאחר הטיפול. אתם ואנשים אחרים המטפלים בילדך צריכים להקפיד על היגיינת ידיים נאותה כמפורט להלן **במשך חודש אחד לפחות** אחרי הטיפול בילדך באמצעות זולג'נסמה



יש לעטות כפפות מגן בעת מגע ישיר עם נוזלי גוף (שתן) או הפרשות (צואה) של ילדך



לאחר מכן, **יש לרחוץ את הידיים היטב** במים זורמים חמים וסבון, או באמצעות תכשיר לחיטוי ידיים המבוסס על אלכוהול



יש להשתמש בשתי שקיות פלסטיק לפינוי חיתולים משומשים ופסולת אחרת. חיתולים חד-פעמיים עדיין ניתנים לפינוי לאשפה ביתית



אם יש לך שאלות לגבי אופן הטיפול בהפרשות הגוף של ילדך, אנא שוחח עם הרופא/ה או האח/ות של ילדך

3. לאחר הטיפול (המשך)

טיפול תומך

אף על פי שזולג'נסמה מספקת עותק בעל תפקוד מלא של הגן *SMN*, ילדך עדיין סובל ממחלת SMA. טיפולים תומכים נוספים המשמשים לטיפול בחולי SMA כוללים:



תמיכה בתזונה,
אכילה ושתייה



פיזיותרפיה



טיפולים
אורתופדיים



סילוק הפרשות
מדרכי הנשימה



מניעת זיהומים בדרכי הנשימה
(כגון מניעת שפעת ודלקת ריאות
באמצעות חיסונים)



תמיכה נשימתית,
לדוגמה, באמצעות
מסיכת שינה



הצוות הרפואי של ילדך יפעל אתך בהתאם לצורך על מנת להבטיח
מתן מענה לצורכי הטיפול התומך של ילדך

מתי לפנות לטיפול רפואי



יש לפנות לטיפול רפואי דחוף באחד המקרים הבאים:

במקרים מסוימים, זולג'נסמה יכולה להשפיע על תפקוד הכבד ולהוביל לפגיעה בכבד. סימנים אפשריים אליהם עליך לשים לב לאחר מתן תרופה זו לילדך כוללים **הקאות, צהבת** (הצהבת העור או לובן העיניים) או **ירידה בערנות**

זולג'נסמה יכולה להפחית את ספירת הטסיות בדם (תרומבוציטופניה). שוחח עם הרופא/ה של ילדך אם אתה מבחין בסימנים כגון **שטפי דם (חבורות)** או **דימומים** ממושכים יותר מהרגיל אם ילדך נפצע

זולג'נסמה יכולה להגביר את הסיכון לקרישת דם בלתי תקינה בכלי דם קטנים (מיקרואנגיופטיה תרומבוטית). דווח לרופא/ה של ילדך מייד אם אתה מבחין בסימנים ובתסמינים כגון **שטפי דם (חבורות) הנוצרים בקלות, פרכוסים או ירידה במתן שתן**

זולג'נסמה עלולה לגרום לרמות מוגברות של חלבון הספציפי ללב המכונה טרופונין-I, תופעה העלולה להעיד על פגיעה בלב. שוחח עם הרופא/ה של ילדך מייד אם אתה מבחין בסימנים ובתסמינים כגון **צבע עור חיוור אפור או כחול, קושי בנשימה** (כגון נשימה מהירה, קוצר נשימה), או **נפיחות בזרועות, ברגליים או בבטן**

דווח לרופא/ה במקרה של **הקאה לפני או לאחר הטיפול** בזולג'נסמה על מנת לוודא שילדך לא יחמיץ מתן של מנת קורטיקוסטרואידים (פרדניזולון או תכשיר מקביל אחר)

דווח לרופא/ה של ילדך מייד אם ילדך מפתח סימנים ותסמינים המעידים על זיהום (כגון הצטננות, שפעת או ברונכיוליטיס (דלקת סמפונות)) **לפני או לאחר** הטיפול בזולג'נסמה, מאחר שהדבר עלול להוביל לסיבוכים אחרים חמורים יותר העלולים לדרוש טיפול רפואי דחוף. סימנים אליהם יש לשים לב הם **שיעול, צפצופים, התעטשות, נזלת, כאב גרון או**

חום

פרטי קשר של הרופא/ה

ילדך ימשיך להיות תחת מעקב של אנשי צוות רפואי לאחר עירוי זולג'נסמה. אם יש לך חששות וברצונך לשוחח עם הרופא/ה או הצוות הרפואי של ילדך, באפשרותך להשתמש בטופס שלהלן לרישום פרטי הקשר שלהם.

שם:

תפקיד:

מספר טלפון ליצירת קשר:

דוא"ל ליצירת קשר:

שם:

תפקיד:

מספר טלפון ליצירת קשר:

דוא"ל ליצירת קשר:

שם:

תפקיד:

מספר טלפון ליצירת קשר:

דוא"ל ליצירת קשר:

שם:

תפקיד:

מספר טלפון ליצירת קשר:

דוא"ל ליצירת קשר:

שם:

תפקיד:

מספר טלפון ליצירת קשר:

דוא"ל ליצירת קשר:

שם:

תפקיד:

מספר טלפון ליצירת קשר:

דוא"ל ליצירת קשר:

עמותות חולים מקומיות

קיימות עמותות חולים רבות ברחבי העולם אשר יכולות לסייע בתמיכה בך ובילדך הלוקה במחלת SMA. הן יכולות לספק מידע על SMA, מחקרים עדכניים ביותר ותמיכה קהילתית. שוחח עם הרופא/ה או הצוות הרפואי של ילדך, אשר יכולים לתת לך מידע על העמותות המקומיות באזורך



מונחים נפוצים

נגיף קשור לאדנו מס' 9 (AAV9) Adeno-associated virus 9

Adeno-associated virus 9 (AAV9) הוא סוג של נגיף. הנגיף AAV9 ניתן להתאמה כך שהוא אינו גורם למחלה בבני אדם. בזולג'נסמה, AAV9 מותאם הוא הנשא המשמש להעברת העותק של גן *SMN* בעל תפקוד מלא

נוגדנים

נוגדנים מיוצרים על ידי מערכת החיסון של הגוף על מנת לסייע בהגנתו מפני מחלות. כל סוג של נוגדן הוא ייחודי ומגן על הגוף נגד סוג מחלה ספציפי

ניוון

ניוון משמעותו היא דלדול או ירידה בכמות. לדוגמה, שריר שמתדלדל מכונה שריר מנוון

גזע המוח

גזע המוח הוא חלק במוח התומך בתפקודים קריטיים בגוף, לרבות נשימה ושינה. גזע המוח מחבר את חוט השדרה עם יתר אזורי המוח

קורטיקוסטרואידים

קורטיקוסטרואידים הם סוג של תרופה המדכאת את מערכת החיסון על מנת לנסות לסייע בשליטה בעלייה פוטנציאלית באנזימי כבד לאחר הטיפול בזולג'נסמה

DNA, דנ"א (חומצה דאוקסיריבונוקלאית)

DNA (חומצה דאוקסיריבונוקלאית) הוא החומר התורשתי בבני אדם וכמעט בכל האורגניזמים האחרים. כמעט כל התאים בגופו של אדם מכילים דנ"א (DNA) זהה

גנים

גנים הם סדרות של הוראות אשר יכולות להורות לגוף כיצד לייצר חלבונים. גנים מגיעים בזוגות; עותק אחד מורש על ידי כל הורה

ריפוי גנטי

ריפוי גנטי הוא דרך לטיפול במחלה או למניעת התקדמות מחלה באמצעות גנים. קיימים סוגים שונים של ריפוי גנטי הפועלים בדרכים שונות. אלה כוללים החלפה או תיקון של גנים חסרים או פגומים; הוספת גן חדש על מנת לסייע לתרופה אחרת לפעול טוב יותר; או עצירת הוראות מגן המייצר עודף של חלבון מסוים, אשר הופך לרעיל לגוף

מחלה גנטית

מצב רפואי הנגרם על ידי גן חסר או פגום, או גנים חסרים או פגומים. מחלות גנטיות הן מחלות המועברות בתורשה. מחלת SMA היא דוגמה למחלה גנטית

עירוי תוך-וריד

עירוי לתוך וריד באמצעות צנתר (צינורית פלסטיק), אשר מוחדר לתוך הווריד תוך שימוש במחט

נירן מוטורי (עצב תנועתי)

עצבים מיוחדים אלה נושאים אותות מהמוח לשרירים לצורך שליטה בתנועה. קיימים שני סוגים של נירונים מוטוריים: נירונים מוטוריים עליונים הנושאים אותות מהמוח לגזע המוח ולחוט השדרה, ונירונים מוטוריים תחתונים הנושאים אותות מהנירונים המוטוריים העליונים לשרירים

טסיות

סוג של תא הנמצא בדם, אשר אחראי לקרישת דם

פרדינזולון

פרדינזולון הוא סוג של תרופה המכונה קורטיקוסטרואידים, אשר מסייע בשליטה בעלייה פוטנציאלית באנזימי כבד לאחר הטיפול בזלג'נסמה

חלבונים

חלבונים הם מולקולות חשובות המעורבות כמעט בכל תפקוד בגוף. חלבונים מסייעים בבניית תאי הגוף, וכן מסייעים לתאים להעביר ולייצר חומרים חשובים, לתקן פגמים ולשרוד

תופעת לזואי

תופעת לזואי היא תופעה משנית, ובדרך כלל בלתי רצויה, של תרופה

נירן שרירים שדרתי (SMA)

מחלת SMA היא מחלה נדירה הגורמת להיחלשות שרירים הדרגתית בשל הפסקת הפעילות של תאי עצב ייעודיים בגוף אשר שולטים בתנועת השרירים, המכונים נירונים מוטוריים. הנירונים המוטוריים מתדרדרים ומפסיקים לפעול בשל מחסור בחלבון SMN

גן שרירות עצבים תנועתיים מס' 1 (SMN1)

הגן SMN1 הוא גן SMN העיקרי המייצר את החלבון SMN הדרוש לנירונים מוטוריים לצורך פעילות תקינה. בחולי SMA, שני העותקים של גן זה פגומים או חסרים. משמעות הדבר היא שתאי הגוף אינם מסוגלים לייצר את החלבון SMN בכמות מספקת

גן שרירות עצבים תנועתיים מס' 2 (SMN2)

הגן SMN2 פועל כגיבוי לתמיכה בייצור החלבון SMN. הגן SMN2 מייצר חלבון SMN תפקודי בכמויות קטנות בלבד

חלבון שרירות עצבים תנועתיים (SMN) Survival motor neuron

חלבון SMN הוא חיוני לפעילותם התקינה ולשרידותם של נירונים מוטוריים. ללא חלבון SMN בכמות מספקת, הנירונים המוטוריים מתדרדרים ומפסיקים לפעול. חלבון SMN מיוצר על ידי הגוף באמצעות הגן SMN

הערות

מדריך זה ותוכנו אושרו לפי הנחיות משרד הבריאות בתאריך אוקטובר 2024.

בעל הרישום והיבואן: נוברטיס ישראל בע"מ, רח' תוצרת הארץ 6, ת.ד. 7126, תל אביב.
טל.: 03-9201111

מדריך זה הופק על ידי נוברטיס ישראל בע"מ. המידע המובא מיועד למטרות הדרכה בלבד ואינו מיועד להחליף שיחות עם הרופא/ה או הצוות המטפל. המידע קשור לניוון שרירים שדרתי כסקירה כללית.

© Novartis 2024.
כל הזכויות שמורות.

לשם הפשטות ולהקלת הקריאה, מדריך זה נוסח בלשון זכר. על אף זאת הדברים האמורים פונים להורים ומטפלים משני המינים, והתרופה זולג'נסמה מיועדת לבני שני המינים.

RMP 2024-009-HEB