

2023. február 09.

Fontos gyógyszerbiztonsági információ

ZOLGENSMA[▼] (onaszemnogén abeparvovek): végzetes kimenetelű akut májelégtelenség kialakulásának kockázata

Tisztelt Doktornő / Doktor Úr!

A Novartis az Európai Gyógyszerügynökséggel (EMA) és az Országos Gyógyszerészeti és Élelmezés-egészségügyi Intézettel egyetértésben a következőkről tájékoztatja Önt:

Összefoglalás

- **Akut májelégtelenség végzetes kimenetelű eseteiről számoltak be onaszemnogén abeparvovekkel kezelt betegeknél.**
- **A májfunkciót ellenőrizni kell a kezelés előtt, valamint legalább 3 hónapig rendszeresen az infúziót követően.**
- **Romló májfunkciós vizsgálati eredmények és/vagy bármilyen akut betegség gyanúja vagy tüneteinek fellépése esetén azonnal ki kell vizsgálni az érintett betegeket.**
- **Ha a beteg nem reagál megfelelően a kortikoszteroid terápiára, kérje gyermek gasztroenterológus vagy hepatológus gyermekorvos szakvéleményét, valamint fontolja meg az alkalmazott kortikoszteroid-kezelés módosítását.**
- **A kortikoszteroid-terápia adagjának fokozatos csökkentését mindaddig nem szabad megkezdeni, amíg a májfunkciós vizsgálati eredmények jelentős eltérései meg nem szűnnek (eltérés nélküli fizikális vizsgálat, összbilirubin, valamint GPT és GOT szint az ULN kétszerese alatti érték).**
- **Tájékoztatni kell a gondozókat a májkárosodás súlyos kockázatáról, valamint arról, hogy rendszeresen ellenőrizni kell a májfunkciót.**

Háttérinformációk a gyógyszerbiztonsági aggályról

▼ A Zolgensma fokozott felügyelet alatt áll, mely lehetővé teszi az új gyógyszerbiztonsági információk gyors azonosítását. Az egészségügyi szakembereket arra kérjük, hogy a lehető leghamarabb jelentsenek bármilyen feltételezett mellékhatást.

A Zolgensma (onaszemnogén abeparvovek) a spinális muszkuláris atrófia (SMA) kezelésére javallott.

Eddig mindösszesen körülbelül 3000 beteg kapta ezt a készítményt.

Az onaszemnogén abeparvovek kapcsán jelentett hepatotoxicitás gyakran manifesztálódik májfunkciós rendellenesség, például az aminoszteráz enzimek (GOT, GPT) szintjének emelkedése formájában. Ugyanakkor beszámoltak akut súlyos májkárosodás vagy akut májelégtelenség eseteiről, beleértve végzetes kimenetelű eseteket is.

Az ennek hátterében álló mechanizmus valószínűleg a vektorral szembeni veleszületett és/vagy adaptív immunválasszal kapcsolatos. Emiatt ajánlott profilaktikus kortikoszteroid-kezelés alkalmazása és a májfunkció monitorozása a kezelés megkezdése előtt, valamint az onaszemnogén abeparvovek infúzió beadása után legalább 3 hónapig rendszeresen. Ennek során hetenként kell ellenőrzést végezni az első hónap ideje alatt és a teljes kortikoszteroid-leépítés időszakában, utána pedig még egy hónapig kettő hetenként, valamint más időpontokban is, amennyiben klinikailag javallott.

A májfunkciós zavar gyanúját vagy tüneteit mutató betegeket azonnal ki kell vizsgálni, nem áll-e fenn náluk májkárosodás. Ha a beteg nem reagál megfelelően a kortikoszteroid-terápiára, kérje gyermek gasztroenterológus vagy hepatológus gyermekorvos szakvéleményét. A hepatotoxicitás kezeléséhez fontolja meg az alkalmazott kortikoszteroid-kezelés módosítását, beleértve az időtartam meghosszabbítását és/vagy a dózis növelését, illetve a fokozatos csökkentés mértékének lassítását.

A közelmúltban két esetben számoltak be végzetes kimenetelű akut májelégtelenségről onaszemnogén abeparvovekkel kezelt SMA-s betegeknél, akik 4, illetve 28 hónaposak voltak. A két eset közös klinikai jellemzőit az alábbiakban foglaljuk össze:

- Az onaszemnogén abeparvovek infúzió beadása utáni első 1-2 hétben tünetmentes transzamináz enzim értékek emelkedésében nyilvánult meg a kezdeti májkárosodás, ezt a prednizolon dózisának emelésével kezelték.
- A hepatotoxicitás klinikai tünetei hányás, gyengeség formájában jelentkeztek, amit az aminoszteráz enzimek ismételt emelkedése kísért. Ezt az onaszemnogén abeparvovek infúzió beadása utáni 5-6. hét és a prednizolon fokozatos csökkentésének megkezdése utáni körülbelül 1-2. hét közötti időben észlelték.

- A továbbiakban gyorsan romlott a májfunkció, hepatikus enkefalopátia és sokszervi elégtelenség alakult ki. A halál 6-7 héttel az onaszemnogén abeparvovek infúzió beadása után, a kortikoszteroid fokozatos csökkentésének ideje alatt állt be.

A fent leírt információkkal frissítjük az onaszemnogén abeparvovek kísérőiratait.

Bejelentési felhívás

Kérjük, hogy a nemzeti előírások szerint jelentse be a ZOLGENSMA (onaszemnogén abeparvovek) alkalmazása kapcsán feltételezett mellékhatásokat a hatóság részére:

- online bejelentőlapon, vagy
- letölthető bejelentőlapon.

Online bejelentőlap

A <https://mellekhatas.ogyei.gov.hu/> linken található online bejelentőlap elektronikusan kitölthető, és egy kattintással egyszerűen továbbítható az OGYÉI részére. Amennyiben lehetősége van rá, kérjük, ezt a bejelentési módot válassza (további tudnivalók: <https://ogyei.gov.hu/mellekhatas>).

Letölthető bejelentőlap

A bejelentőlap elektronikusan vagy kinyomtatás után kézzel is kitölthető, és az OGYÉI részére e-mailben, vagy postai úton küldhető vissza az alábbi elérhetőségek valamelyikére:

E-mail: adr.box@ogyei.gov.hu

Levelezési cím: 1372, Pf. 450

Kérjük, a mellékhatások bejelentésekor adjon annyi információt, amennyit csak lehetséges, beleértve a kórelőzményt, a vizsgálati eredményeket, minden, egyidejűleg alkalmazott gyógyszert, a megjelenés és a kezelés dátumát is.

A biológiai készítmények nyomon követhetőségének javítása érdekében az alkalmazott készítmény nevét és gyártási tételszámát egyértelműen kell feltüntetni.

Vállalati kapcsolattartó

Amennyiben további kérdései vannak, vagy még több információra van

szüksége a készítményekkel kapcsolatban, kérjük, vegye fel a kapcsolatot a cég helyi képviselőjével:

Novartis Hungária Kft.,
1114 Budapest, Bartók Béla út 43-47.

Tel: +36-1-457-6500

Fax: +36-1-457-6600

E-mail: infoph.hungary@novartis.com

DocuSigned by:
Dr. Mazalin Kata
CDC848C7FC93491...

Dr. Mazalin Kata

Orvosigazgató

Novartis Hungária Kft.

09-Feb-23 | 12:28:45 PM GMT

HU2302087695

Lezárás dátuma: 2023.02.08