تمت الموافقة على هذه المادة من قبل الادارة التنفيذية للتيقظ الدوائي في
الهيئة العامة للغذاء والدواء في المملكة العربية السعودية

دليل مقدم الرعاية للعلاج بعقار زولجينزما®▼ (أوناسمنوجين أبيبارفوفك)

لقد أعطاك طبيب طفلك هذا الدليل الإرشادي لأن طفلك قد وُصِف له عقار زولجينزما®. يهدف هذا الدليل الإرشادي إلى تقديم معلومات عملية تساعدك على مناقشة طبيبك. ويجب قراءته جنبًا إلى جنب مع نشرة العبوة التي تحصل عليها مع هذا الدَّواء.

▼ إذا تعرَض طفلك لأي آثار جانبية، فتحدَث إلى طبيبه أو الممرض(ة) أو الصيدلي/غيرهم من أخصائيي الرعاية الصحية. يشمل ذلك أي آثار جانبية مُحتَمَلة غير مُدرَجة في هذا الدليل أو في نشرة العبوة.

إذا كان لديك أي أسئلة أو مخاوف بشأن عقار زولجينزما، فتحدَث مع طبيب طفلك أو الممرض(ة) أو الصيدلي/غيرهم من أخصائيي الرعاية الصحية

NOVARTIS

تم إعداد هذا الدليل الإرشادي لتقديم معلومات مفيدة تركز على ما يلي:

- **ماذا يُقصَد بضمور العضلات الشوكي؟**
- **ما عقار زولجينزما؟ وكيف يعمل؟**
- **معلومات الأمان الهامَة والآثار الجانبية المُحتَمَلة لعقار زولجينزما**
- **كل خطوة من خطوات رحلة العلاج بعقار زولجينزما**

إذا كان لديك أي أسئلة أو مخاوف بشأن هذا الدَواء أو صحة طفلك وعافيته، فيُرجى التحدث مع طبيب طفلك أو الممرض(ة) أو الصيدلي/غيرهم من أخصائيي الرعاية الصحية.

جهات الاتصال المفيدة

ما هي محتويات هذا الدليل؟

معلومات حول ضمور العضلات الشوكي ٤

• ماذا يُقصَد بضمور العضلات الشوكي؟ ٤

• ما أنواع ضمور العضلات الشوكي المختلفة؟ ٥

• ما الذي يُسبب ضمور العضلات الشوكي؟ ٦

• كيف تُصاب بضمور العضلات الشوكي؟ ٧

معلومات حول عقار زولجينزما ٨

• ما عقار زولجينزما؟ ٨

• عقار زولجينزما في الحالات المتقدمة من ضمور العضلات الشوكي ٩

فهم مخاطر عقار زولجينزما ١٠

معلومات الأمان الهامَة والآثار الجانبية المُحتَمَلة لعقار زولجينزما

العلاج بعقار زولجينزما ١٥

• قبل العلاج ١٦

• يوم العلاج ١٨

• بعد العلاج ١٩

متى تطلب العناية الطبية؟ ٢٥

بيانات الاتصال بالطبيب ٢٦

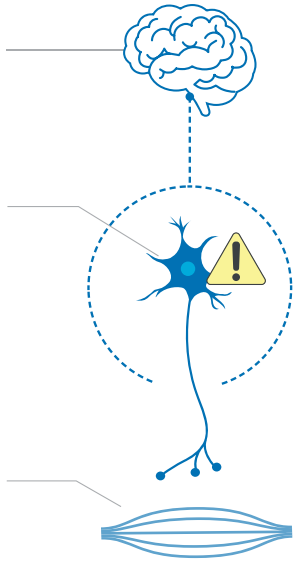
الكلمات الشائعة التي عليك معرفتها ٢٧

إليك تعريفات مفيدة للمصطلحات المُستَخدَمة في هذا الدليل الإرشادي

ملاحظات ٢٩

ماذا يُقصَد بضمور العضلات الشوكي؟

ضمور العضلات الشوكي (SMA) هو مرض وراثي نادر يتم فيه فقدان الأعصاب مما يسبب ضعف العضلات. يحدث ذلك بسبب أن خلايا عصبية خاصة في الجسم والتي تتحكم في حركة العضلات، تسمى الخلايا العصبية الحركية، تتدهوروتتوقف عن العمل.



الإشارات تأتي من الدماغ

في الأشخاص المصابين بضمور العضلات الشوكي، الإشارات لحركة العضلات لا تزال تتولد في الدماغ.

توقف الخلايا العصبية الحركية عن العمل

ومع ذلك، يؤدي جين معيب إلى إيقاف عمل خلايا عصبية معينة، تُسمى الخلايا العصبية الحركية، ودورها هو حمل الإشارات من النُّخاع الشوكي إلى العضلات. مما يعني أن الإشارات الحركية المُرسَلة من المخ لا يمكنها الوصول إلى العضلات

ضعف العضلات

إذا لم تعد العضلات تستقبل إشارات تأمرها بالحركة فإنها تصبح أضعف على نحوٍ متزايد (ضامرة).

لا تتأثر القدرة على التفكير والتعلم وبناء العلاقات في ضمور العضلات الشوكي.

ما أعراض ضمور العضلات الشوكي؟

لضمور العضلات الشوكي مجموعة من الأعراض التي قد تختلف من شخص إلى آخر كما تختلف من حيث الشدة. قد يؤثر ضمور العضلات الشوكي على الأنشطة اليومية مثل التنَفُّس وتناوُل الطعام والجلوس والزحف والمشي. كلما ظهرت أعراض ضمور العضلات الشوكي مبكرًا، زادت الشدة المُحتَمَلة للمرض.

ما أنواع ضمور العضلات الشوكي المختلفة؟

عند التشخيص، يُمكن تصنيف المصابين بضمور العضلات الشوكي إلى أنواع وفقًا للسن عند بدء ظهور الأعراض والقدرة الوظيفية القصوى أو ما يُعرَف بـ "المَعلَم الحركي".
المعالم الحركية ذات الصلة بفهم نوع مرض ضمور العضلات الشوكي (SMA) عند الأطفال، يمكن أن تشمل قدرتهم على:

رفع رؤوسهم

الإمساك بشيء ما في أيديهم

الزحف

الجلوس

التدحرج

الوقوف والمشي

السن عند بدء ظهور الأعراض	عند الولادة	≤ 6 أشهر	6–18 شهرًا	> 18 شهرًا	≥ 18 سنة
القدرة الوظيفية	من الممكن أن يتأثر الجنين قبل الولادة	عدم القدرة على الجلوس بشكل مستقل	القدرة على الجلوس وربما الوقوف بشكل مستقل، وعدم القدرة على المشي بشكل مستقل	المشي المستقل	المشي المستقل حتى مرحلة البلوغ
التصنيف	ضمور العضلات الشوكي، النوع 0	ضمور العضلات الشوكي، النوع ١	ضمور العضلات الشوكي، النوع 2	ضمور العضلات الشوكي، النوع ٣	ضمور العضلات الشوكي، النوع 4

الشدة

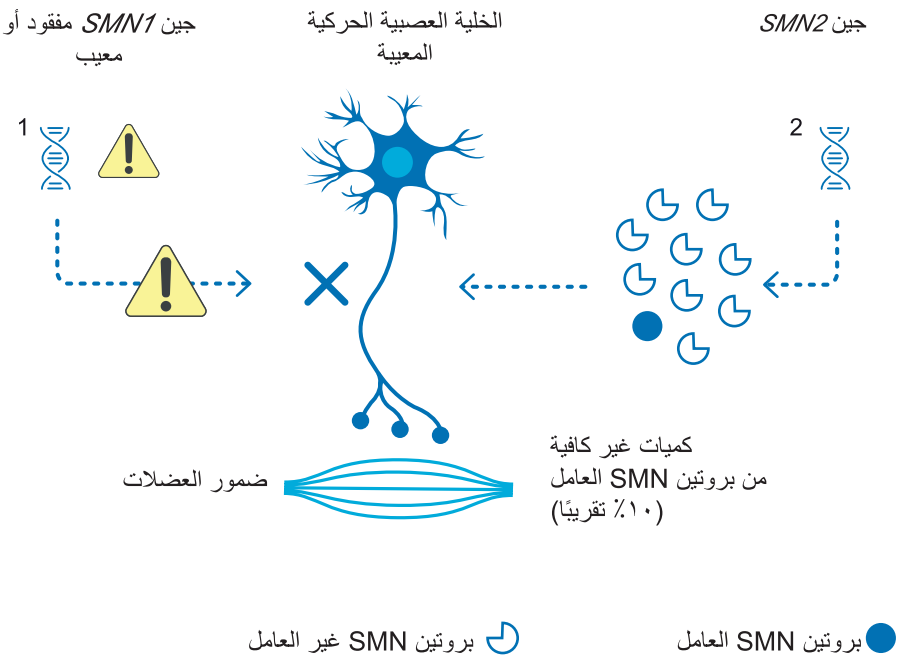
كلما كان مبكرًا، كان أكثر شدةً ← كلما كان لاحقًا، كان أقل شدةً

دون تدخل أو علاج، الأطفال الذين يعانون من أشكال أكثر شدة من ضمور العضلات الشوكي لديهم عمر أقصر. مع التدخل الطبي المبكر والعلاج، يمكن إبطاء التدهور، حيث يتمكن الأطفال في كثير من الأحيان من تحقيق معالم نادرًا ما يتم رؤيتها خلال المسار الطبيعي للمرض.

ما هي مسببات ضمور العضلات الشوكي؟

يعد البروتين المسمى بروتين (بقاء الخلايا العصبية الحركية) (Survival Motor Neuron, SMN) ضروريًا للخلايا العصبية الحركية لتكون قادرة على العمل بشكل صحيح. فبدون بروتين SMN، تتوقف الخلايا العصبية الحركية في الحبل الشوكي عن العمل وتصبح العضلات أضعف. يتم تصنيع بروتين SMN في الجسم من جين (بقاء الخلايا العصبية الحركية) (Survival Motor Neurons Gene, SMN Gene)

في حالات ضمور العضلات الشوكي، يكون جين SMN الرئيسي المعروف باسم (بقاء الخلايا العصبية الحركية 1) (SMN1) معيبًا أو مفقودًا. هناك جين ثانٍ من SMN معروف باسم (بقاء الخلايا العصبية الحركية 2) (SMN2) يعمل بمثابة "نسخة الاحتياطية" و ينتج كميات صغيرة فقط من بروتين SMN. في حالات ضمور العضلات الشوكي، لا تُنتَج كمية كافية من بروتين SMN، فتتوقف الخلايا العصبية الحركية عن العمل مما يؤدي إلى ضعف العضلات.



كيف تُصاب بضمور العضلات الشوكي؟

عادةً ما يُوَرَّث ضمور العضلات الشوكي، يرث الأطفال نسختين من جين *SMN1*، واحدة من كل والد.

نصف المعلومات الوراثية للطفل يأتي من الأم والنصف الآخر من الأب.

يُعرَف الأشخاص الذين لديهم نسخة سليمة وأخرى معيبة من جين *SMN1* باسم حاملي المرض، وعادةً لا تظهر عليهم أي علامات على الإصابة بضمور العضلات الشوكي. إذا كان كلا الوالدين حاملين للمرض، فهناك احتمالية بنسبة ٢٥٪ أن يرث الطفل ضمور العضلات الشوكي ويُصاب به

هناك نحو **شخص واحد من كل 50 شخصًا** يكون حاملًا لضمور العضلات الشوكي

يصيب ضمور العضلات الشوكي نحو **1 من كل 12،000 – 10،000** مولود حي ويمكن أن يصيب أي عِرق أو جنس

♂ حامل

يحمل نسخة معيبة وأخرى سليمة من جين *SMN1*.

♀ حامل

يحمل نسخة معيبة وأخرى سليمة من جين *SMN1*

سليم

ورث الطفل نسخة سليمة من جين *SMN1* من كلا الوالدين وبذلك فهو طبيعي

حامل **حامل**

ورث الطفل نسخة سليمة وأخرى معيبة من جين *SMN1* وبذلك أصبح حاملًا لضمور العضلات الشوكي

المصابون بضمور العضلات الشوكي

ورث الطفل نسخة معيبة من جين *SMN1* من كلا الوالدين وبذلك يُصاب بضمور العضلات الشوكي

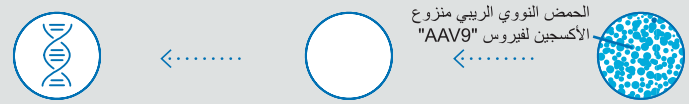
ما عقار زولجينزما؟

عقار زولجينزما هو نوع من أنواع العلاج يسمى "العلاج الجيني"، يستخدم لعلاج الرضع و صغار الأطفال المصابين بضمور العضلات الشوكيز

يتكون عقار زولجينزما من فيروس مُعَدَّل يُسمى الفيروس المرتبط بالفيروس الغدي ٩ (أو AAV9) الذي يحتوي على نسخة عاملة بكامل طاقتها من جين SMN (الجين الذي يكون معيبًا في حالات ضمور العضلات الشوكي). يُستَخدَم فيروس "AAV9" الموجود في عقار زولجينزما لنقل الجين البديل إلى الجسم والخلايا حيث توجد حاجة إليه

١

في عقار زولجينزما، يوضع جين SMN داخل فيروس مُعَدَّل (وهو AAV9) لا يُسبب المرض للبشر



٢

يُعطى عقار زولجينزما لطفلك عن طريق الوريد

٣

ينتقل الفيروس المُعَدَّل في عقار زولجينزما عبر الجسم ويوصل جين SMN إلى الخلايا حيث توجد حاجة إليه

٤

يساعد عقار زولجينزما الجسم على إنتاج ما يكفي من بروتين SMN، وذلك عن طريق توفير نسخة تعمل بكامل طاقتها من جين SMN

AAV، الفيروس المرتبط بالفيروس الغدي؛ DNA، الحمض النووي الريبي منزوع الأكسجين؛ SMA، ضمور العضلات الشوكي؛ SMN، نجاة الخلايا العصبية الحركية.

عقار زولجينزما في الحالات المتقدمة من ضمور العضلات الشوكي

بإمكان عقار زولجينزما إنقاذ الخلايا العصبية الحركية التي لم تزل حية وقادرة على النمو، وليس الخلايا العصبية الحركية الميتة. قد يكون لدى الأطفال الذين يُعانون من أعراض أقل شدة لضمور العضلات الشوكي ما يكفي من الخلايا العصبية الحركية الحية بحيث ينتفعون من العلاج بعقار زولجينزما. قد لا يعمل عقار زولجينزما بنفس الدرجة في الأطفال الذين يُعانون من أعراض شديدة.

فهم مخاطر عقار زولجينزما

مثل كافة الأدوية، قد يكون لعقار زولجينزما آثار جانبية، على الرَغم من عدم حدوثها لدى الجميع

إذا تعرَض طفلك لأي آثار جانبية، فتحدَث إلى طبيبه أو الممرض(ة) أو الصيدلي/غيرهم من أخصائيي الرعاية الصحية فورًا

معلومات الأمان الهامَة ومتى يكون عليك طلب العناية الطبية

مشاكل الكبد

قبل أن يُعطى طفلك هذا الدَّواء، أخبر الطاقم الطبي المتابع لطفلك في حال كان طفلك مُصابًا أو أُصيب من قبل بأي مشاكل في الكبد. في بعض الحالات، يُمكِن أن يسبب عقار زولجينزما استجابةً مناعيةً قد تؤدي إلى زيادة في الإنزيمات (البروتينات الموجودة داخل الجسم) التي ينتجها الكبد أو إلى إصابة في الكبد.

قد تؤدي إصابة الكبد إلى نتائج خطيرة، من ضمنها فشل الكبد والوفاة. العلامات المُحتَمَلة التي عليك التنبُّه لها بعد أن يُعطى طفلك هذا الدَّواء تشمل القيء واليرقان (اصفرار الجلد أو بياض العينين) أو انخفاض اليقظة. أخبِر طبيب طفلك فورًا إذا لاحظت أن طفلك مصاب بأي أعراض تشير إلى إصابة بالكبد.

التجلط الدموي غير الطبيعي

قد يزيد عقار زولجينزما من خطر التجلط الدموي غير الطبيعي في الأوعية الدَّموية الدقيقة (اعتلال الأوعية الدقيقة الخثاري)، ويحدث ذلك بوجه عام خلال أول أسبوعين بعد العلاج بعقار زولجينزما. قد تؤثر هذه الجلطات الدموية على كُليتي طفلك. أخبِر طبيبك فورًا إذا لاحظت علامات وأعراضًا مثل سهولة التكدُّم أو النوبات التشنجية أو انخفاض في كمية البول

يجب التنبُّه لهذه العلامات والأعراض جيدًا؛ فالتجلط الدموي غير الطبيعي (اعتلال الأوعية الدقيقة الخثاري) يمثل خطورة وقد يكون مهددًا للحياة إذا لم يُعالَج.

انخفاض تعداد الصَفائح الدَموية

يُمكِن أن يخفض عقار زولجينزما تعداد الصفائح الدَّموية (نقص الصفائح الدَّموية)، ويحدث ذلك بوجه عام خلال أول ٣ أسابيع بعد العلاج بعقار زولجينزما. العلامات المُحتَمَلة لانخفاض تعداد الصفائح الدَّموية التي عليك التنبُّه لها بعد أن يُعطى طفلك عقار زولجينزما تتضمن النزيف أو التكدُّم غير الطبيعي.

تحدَّث إلى طبيبك إذا لاحظت ظهور علامات مثل التكدُّم أو النزيف لفترة أطول من المعتاد إذا تعرض طفلك للأذى.

ارتفاع مستوى (تروبونين-آي)

يُمكِن أن يؤدي عقار زولجينزما إلى رفع مستويات بروتين من بروتينات القلب يُسمى (تروبونين-آي) وهو ما قد يدل على وجود إصابة في القلب. عليك التنبُّه للعلامات المُحتَمَلة لمشاكل القلب بعد أن يُعطى طفلك عقار زولجينزما، مثل تلوُّن الجلد بلون رمادي شاحب أو لون أزرق، أو صعوبة التنَفُّس (على سبيل المثال: التنَفُّس السريع أو ضيق التنَفُّس) أو تورُّم الذراعين والساقين أو انتفاخ البطن.

سيخضع طفلك لاختبارات الدَّم لفحص وظائف الكبد ووظائف الكُلى وكمية خلايا الدَّم (ومن ضمنها خلايا الدَّم الحمراء والصفائح الدَّموية) ومستوى تروبونين-آي قبل العلاج بعقار زولجينزما.

سيخضع طفلك لاختبارات دم منتظمة لثلاثة أشهر على الأقل بعد العلاج لفحص وظائف الكبد ومراقبة حالته تحسبًا لحدوث تغيُّرات في الصفائح الدَّموية ومستويات تروبونين-آي. اعتمادًا على القيم والعلامات والأعراض الأخرى، قد تكون هناك حاجة إلى مزيد من التقييمات. سيقرر طبيب طفلك فترة إجراء الاختبارات.

يُرجى الرجوع إلى نشرة العبوة التي تأتي مع دواء طفلك للمزيد من المعلومات حول عقار زولجينزما. لا تتردد في التحدُّث إلى الطاقم الطبي لطفلك إذا كان لديك أي أسئلة.

فهم مخاطر عقار زولجينزما (تابع)

مثل كافة الأدوية، قد يكون لعقار زولجينزما آثار جانبية، على الرَغم من عدم حدوثها لدى الجميع

إذا تعرَض طفلك لأي آثار جانبية، فتحدَث إلى طبيبه أو الممرض(ة) أو الصيدلي/غيرهم من أخصائيي الرعاية الصحية فورًا

الحساسية

يجب ألا يُعطى طفلك عقار زولجينزما إذا كان لديه حساسية تجاه أيٍّ من مكوناته (مكونات العقار مُدرَجة في قسم ٦ في نشرة العبوة التي تأتي مع دواء طفلك).

لمعلوماتك قائمة المكونات:

- تروميثامين
- كلوريد المغنيسيوم
- كلوريد الصوديوم
- بولوكسامير ١٨٨
- حمض الهيدروكلوريك (لتعديل الرقم الهيدروجيني)
- الماء للحقن

الكورتيكوستيرويدات

سيُعطى طفلك أيضًا الكورتيكوستيرويدات (بريدنيزولون أو ما يكافئه) لفترة من الزمن قبل العلاج بعقار زولجينزما وبعده. سيختلف طول الفترة الزمنية التي سيُعطى فيها طفلك الكورتيكوستيرويدات بعد العلاج بعقار زولجينزما وفقًا لقيم إنزيمات الكبد والعلامات والأعراض الأخرى، وسيقررها طبيب طفلك. لن تقل هذه الفترة عن شهرين.

ستساعد الكورتيكوستيرويدات على معالجة أي زيادة مُحتَمَلة في إنزيمات الكبد قد يتعرَّض لها طفلك بعد الاستجابة المناعية لعقار زولجينزما. سيحدد طبيب طفلك جرعة الكورتيكوستيرويدات التي سيتلقاها طفلك وفقًا لوزنه.

أثناء إعطاء جرعات الكورتيكوستيرويدات، قد يصاب طفلك بعدوى جديدة أو بأمراض الأطفال المعتادة الأخرى التي قد تتطلب استخدام أدوية أخرى. قبل العلاج بأي أدوية أخرى أو إذا كان لديك أي أسئلة بشأن الكورتيكوستيرويدات، من المُهِم استشارة طبيب طفلك أو الممرض(ة) أو الصيدلي/غيرهم من أخصائيي الرعاية الصحية.

تناوُل أدوية أخرى مع عقار زولجينزما

سيُعطى عقار زولجينزما لطفلك مرة واحدة فقط. أخبِر طبيب طفلك أو الممرض(ة) إذا كان طفلك يتناول أو تناول مؤخرًا أو قد يتناول أي أدوية أخرى

العدوى

قد يَضعُف الجِهاز المَناعيّ لطفلك بسبب تلقي الكورتيكوستيرويدات، وهو ما يعني أن العدوى التي يستطيع الأصحاء مكافحتها عادةً قد تجعله مريضًا بشكل خطير. إذا أُصيب طفلك بعدوى (على سبيل المثال: نزلة برد أو إنفلونزا أو التهاب بالشُّعب الهوائية) قبل العلاج بعقار زولجينزما أو بعده، فربما يؤدي ذلك إلى مضاعفات أكثر خطورة قد تحتاج إلى عناية طبية عاجلة.

يجب أن تخبر طبيب طفلك فورًا إذا لاحظت أن طفلك أُصيب بأي علامات وأعراض تشير إلى الإصابة بعدوى قبل العلاج بعقار زولجينزما أو بعده، مثل:

- السعال
- العطس
- التهاب الحلق
- أزيز الصدر
- سيلان الأنف
- الحُمَّى

من المهم الوقاية من العدوى قبل العلاج بعقار زولجينزما وبعده عن طريق تجنب المواقف التي قد تزيد من احتمالية تعرُّض طفلك للعدوى. يمكنك أنت وأي شخص آخر مخالط لطفلك على نحو وثيق المساعدة في منع الإصابة بالعدوى بالحرص على نظافة اليدين، ومراعاة آداب السعال/العطس، والحد من المخالطات المحتملة.

فهم مخاطر عقار زولجينزما (تابع)

خلاصة القول، اطلب العناية الطبية العاجلة إذا أُصيب طفلك بأي من العلامات أو الأعراض التالية:

- **كدمات** أو **نزيف** لفترة أطول من المعتاد إذا تعرَّض طفلك للأذى – قد تكون هذه علامات انخفاض تعداد الصَّفائح الدَّموية (نقص الصَّفائح الدَّموية).
- **سهولة التعرض للكدمات، النوبات التشنجية** أو انخفاض في كمية البول – قد تكون هذه علامات على تجلط غير طبيعي للدم في الأوعية الدَّموية الدقيقة (اعتلال الأوعية الدقيقة الخثاري). يجب التنبُّه لهذه العلامات والأعراض جيدًا؛ فالتجلط الدموي غير الطبيعي قد يكون مهددًا للحياة إذا لم يُعالَج.
- **قيء** أو يرقان (اصفرار الجلد أو بياض العينين) أو انخفاض اليقظة – قد تكون هذه علامات تشير إلى احتمالية وجود مشاكل في الكبد (من بينها فشل الكبد)
- **تلوُّن الجلد بلون رمادي شاحب أو لون أزرق، أو صعوبة في التنَفُّس** (على سبيل المثال: التنَفُّس السريع أو ضيق التنَفُّس) أو **تورُّم الذراعين والساقين أو انتفاخ البطن** – قد تكون هذه علامات على احتمالية وجود مشاكل في القلب
- **سعال أو أزيز بالصدر أو عطس أو سيلان بالأنف أو التهاب بالحلق** أو **حُمَى** – قد تكون هذه علامات تشير إلى الإصابة بعدوى (على سبيل المثال: نزلة برد أو إنفلونزا أو التهاب بالشُّعب الهوائية).

العلاج بعقار زولجينزما

ستساعدك الخطوات الواردة في الصفحات التالية وستساعد أسرتك في فهم ما يجب توقعه مستقبلًا

١. قبل العلاج

للمساعدة في اتخاذ قرار بشأن ما إذا كان عقار زولجينزما مناسبًا لطفلك أم لا، سيجري طبيب طفلك فحوصات للأجسام المضادة قبل العلاج.

اختبار الأجسام المضادة لفيروس AAV9

ينتج الجهاز المناعي للجسم أجسامًا مضادة للمساعدة في حمايته من الأمراض. يُمكِن أن يؤدي وجود أجسام مضادة معينة، تُسمى الأجسام المضادة لفيروس AAV9، إلى حدوث استجابة مناعية لدى الطفل تجاه عقار زولجينزما. للمساعدة في اتخاذ قرار بشأن ما إذا كان عقار زولجينزما مناسبًا لطفلك أم لا، سيجري طبيب طفلك فحوصات للأجسام المضادة قبل العلاج.

قد يكون لدى طفلك ارتفاعات بمستويات الأجسام المضادة لفيروس AAV9. إذا كان الطفل حديث الولادة، فقد تكون أجسامًا مضادة انتقلت إليه من الأم أثناء الحمل، وغالبًا ما تنخفض هذه المستويات المرتفعة بمرور الوقت بعد الولادة. إذا كان لدى طفلك ارتفاع بمستوى الأجسام المضادة لفيروس AAV9 بعد خضوعه للاختبار الأول، فسيكون مؤهلًا لإعادة الاختبار بعد فترة من الوقت. إذا كان لديك أي أسئلة، فاستشر طبيب طفلك

اختبارات الدَم

قبل العلاج بعقار زولجينزما سيخضع طفلك لاختبارات دم لفحص وتحديد مستويات بدء العلاج للوقوف على حالة:

- وظائف الكبد
- وظائف الكُلى
- مقدار خلايا الدَّم (من ضمنها خلايا الدَّم الحمراء والصفائح الدَّموية)
- مستوى تروبونين-آي

ستساعد هذه القياسات طبيبك في مراقبة المستويات لدى طفلك بعد العلاج بعقار زولجينزما

الكورتيكوستيرويدات

قبل 24 ساعة من العلاج بعقار زولجينزما، ستُعطى لطفلك الكورتيكوستيرويدات (بريدنيزولون أو ما يُكافئه) للتعامل مع الزيادات المُحتَمَلة في إنزيمات الكبد.

سيحدد طبيب طفلك جرعة الكورتيكوستيرويدات التي سيتلقاها طفلك وفقًا لوزنه. لضمان عدم فقدان طفلك لجرعات الكورتيكوستيرويد، أخبر طبيب طفلك أو الممرض(ة) أو الصيدلي/غيرهم من أخصائيي الرعاية الصحية في حال حدوث قيء قبل العلاج بعقار زولجينزما.

العدوى

من المُهِم أن تُبلغ طبيب طفلك أو مقدم الرعاية الصحية فورًا إذا أُصيب طفلك بأعراض تشير إلى الإصابة بالعدوى قبل أو بعد تلقي عقار زولجينزما. إذا أُصيب طفلك بعلامات وأعراض تشير إلى الإصابة بعدوى قبل العلاج بعقار زولجينزما، فقد يستلزم الأمر تأجيل التنقيط الوريدي حتى تزول العدوى. إذا أُصيب طفلك بأعراض بعد العلاج بعقار زولجينزما، فقد يؤدي ذلك إلى مضاعفات طبية قد تحتاج إلى عناية طبية عاجلة.

انظر صفحة ١٣ للاطلاع على علامات العدوى المُحتَمَلة

الحالة الصحية العامة

قبل أن يُعالَج طفلك بعقار زولجينزما، من المهم أن تكون حالته الصحية العامة مناسبة، وإلا فقد يلزم تأجيل العلاج. ويشمل ذلك ألا يكون مصابًا بالجفاف، وأن يتلقى تغذية جيدة وألا يكون مصابًا بأي عدوى نشطة. إذا كان لديك أي مخاوف بشأن الحالة الصحية العامة لطفلك قبل العلاج بعقار زولجينزما، فيُرجى التحدُّث إلى طبيب طفلك أو مقدم الرعاية الصحية.

٢. يوم العلاج

سيتأكد الطاقم الطبي لطفلك من أنك تعلم بالضبط ما عليك توقع حدوثه في يوم العلاج وكيفية الاستعداد له

بريدنيزولون

ستكون الجرعة الأولى من الكورتيكوستيرويدات (بريدنيزولون أو ما يعادله) قد أعطيت لطفلك قبل 24 ساعة من العلاج بعقار زولجينزما.

انظر صفحة ١٧ للاطلاع على معلومات حول جرعات الكورتيكوستيرويدات قبل العلاج بعقار زولجينزما

في يوم تلقي العلاج، سيتلقى طفلك الجرعة الثانية من الكورتيكوستيرويدات الفموية (بريدنيزولون أو ما يكافئه) حسب وصف الطبيب. تعد جرعات الكورتيكوستيرويدات مهمة للتعامل مع أي زيادات مُحتَمَلة في إنزيمات الكبد وسيستمر لفترة بعد العلاج. انظر صفحة ٢١ للاطلاع على معلومات حول جرعات الكورتيكوستيرويدات بعد العلاج بعقار زولجينزما

لضمان عدم فقدان طفلك لجرعات الكورتيكوستيرويد، أخبر مقدم أخصائيي الرعاية الصحية في حال حدوث قيء بعد العلاج بالكورتيكوستيرويد.

سيُعطى عقار زولجينزما لطفلك مرة واحدة فقط.

التنقيط الوريدي لعقار زولجينزما

سيُعطى عقار زولجينزما لطفلك عن طريق التنقيط الوريدي لمرة واحدة. ينطوي الأمر على وضع قسطرة (أنبوب بلاستيكي) في أحد أوردة طفلك باستخدام إبرة. سيتم أيضًا إدخال قسطرة احتياطية ثانوية تحسبًا لحدوث أي انسداد في القسطرة الرئيسية. سيتولى طبيب أو ممرض(ة) مُدَرَّب(ة) على علاج ضمور العضلات الشوكي إعطاء العلاج. سيستغرق التنقيط نحو ٦٠ دقيقة.

سيحدد طبيب طفلك كمية عقار زولجينزما التي سيتلقاها طفلك وفقًا لوزنه.

٣. بعد العلاج

سيقرر طبيب طفلك مدة إقامته في المستشفى بعد تلقي العلاج بعقار زولجينزما. إذا كان لديك أي أسئلة، فتحدَث إلى الطاقم الطبي لطفلك.

الآثار الجانبية المحتملة

مثل كافة الأدوية ، قد يكون لهذا الدواء آثار جانبية، على الرغم من عدم حدوثها لدى الجميع.

اطلب العناية الطبية العاجلة إذا أُصيب طفلك بأيٍ من الآثار الجانبية الخطيرة أو الأعراض التالية

- **كدمات أو نزيف** لفترة أطول من المعتاد إذا تعرَّض طفلك للأذى – قد تكون هذه علامات انخفاض تعداد الصَّفائح الدَّموية (نقص الصَّفائح الدَّموية).
- **سهولة التعرض للكدمات، النوبات التشنجية أو انخفاض في كمية البول** – قد تكون هذه علامات على تجلط غير طبيعي للدم في الأوعية الدَّموية الدقيقة (اعتلال الأوعية الدقيقة الخثاري). يجب التنبُّه لهذه العلامات والأعراض جيدًا؛ فالتجلط الدموي غير الطبيعي قد يكون مهددًا للحياة إذا لم يُعالَج.
- **قيء أو يرقان** (اصفرار الجلد أو بياض العينين) **أو انخفاض اليقظة** – قد تكون هذه علامات تشير إلى احتمالية وجود مشاكل في الكبد (من بينها فشل الكبد)
- **تلوُّن الجلد بلون رمادي شاحب أو لون أزرق، أو صعوبة في التنَفُّس** (على سبيل المثال: التنَفُّس السريع أو ضيق التنَفُّس)، **أو تورُّم الذراعين والساقين أو انتفاخ البطن** – قد تكون هذه علامات على احتمالية وجود مشاكل في القلب
- **سعال أو أزيز بالصدر أو عطس أو سيلان بالأنف أو التهاب بالحلق** أو **حُمَى** - قد تكون هذه علامات تشير إلى الإصابة بعدوى (على سبيل المثال: نزلة برد أو إنفلونزا أو التهاب بالشُّعب الهوائية)

3. بعد العلاج *(تابع)*

تحدَث إلى الطاقم الطبي لطفلك فورًا إذا أُصيب طفلك بأي آثار جانبية أخرى. قد تشمل هذه الآثار ما يلي:

شائعة جدًا (قد تُؤثر على أكثر من ١ من بين كل ١٠ أشخاص)

- زيادات في إنزيمات الكبد تُلاحظ في نتائج اختبارات الدَّم.

شائعة (قد تُؤثر على ما يصل إلى ١ من بين كل ١٠ أشخاص)

- قيء • حمَّى

الإبلاغ عن الآثار الجانبية:

إذا تعرَض طفلك لأي آثار جانبية أو كنت قلقًا من حدوث خطأ ما، فتحدث إلى طبيب طفلك أو الممرضة أو الصيدلي/غيرهم من أخصائيي الرعاية الصحية فورًا

يشمل ذلك أي آثار جانبية مُحتمَلة مذكورة أو غير مذكورة في هذا الدليل أو في نشرة العبوة التي تأتي مع دواء طفلك.

يمكنك أيضًا الإبلاغ عن الآثار الجانبية بشكل مباشر عبر نظام الإبلاغ الوطني. بإبلاغك عن الآثار الجانبية، يمكنك المساعدة في تقديم معلومات إضافية حول أمان استخدام هذا الدَّواء.

يمكنك الإبلاغ عن أي مشكلة أو أحداث عكسية أو طلب نسخ إضافية من المواد من خلال:
قسم سلامة المرضى في نوفارتس فارما إيه جي - المملكة العربية السعودية -.
الرقم المجاني: ٨٠٠١٢٤٠٠٧٨
الهاتف: ٠٠٩٦٦١١٢٦٥٨١٠٠
الفاكس: ٠٠٩٦٦١١٢٦٥٨١٠٧
البريد الإلكتروني: adverse.events@novartis.com
أو عن طريق الموقع الإلكتروني: https://report.novartis.com/

هيئة الغذاء والدواء السعودية، المركز الوطني للتيقظ الدوائي
مركز الاتصال المُوَحَد: ١٩٩٩٩
البريد الإلكتروني: npc.drug@sfda.gov.sa
أو عن طريق الموقع الإلكتروني: https://ade.sfda.gov.sa

المعلومات المُقدَمة هي معلومات للأغراض التثقيفية فقط وليس الغرض منها أن تحل محل إجراء المناقشات ومع طبيبك أو طاقم الرعاية المتابع لحالتك. المعلومات الواردة هي معلومات ذات صلة بضمور العضلات الشوكي يُقصَد بها أن تكون بمثابة نظرة عامة على المرض.

جرعات الكورتيكوستيرويدات بعد العلاج بعقار زولجينزما

سيُعطى لطفلك العلاج بالكورتيكوستيرويدات يوميًّا لنحو شهرين بعد إعطائه عقار زولجينزما. قد تطول هذه الفترة إذا لم تنخفض إنزيمات الكبد لدى الطفل بالسرعة الكافية، حتى تنخفض إلى مستوى مقبول. سيجري خفض جرعة الكورتيكوستيرويدات المُعطاة لطفلك خفضًا بطيئًا خلال هذا الوقت حتى يصبح من الممكن إيقاف العلاج تمامًا.

سيقرر الطاقم الطبي لطفلك ويوضح متى وكيف سيوقف هذا العلاج لطفلك. لضمان عدم فقدان طفلك لجرعات الكورتيكوستيرويد أو فواتها عليه، أخبر طبيب طفلك **أو مقدم** الرعاية الصحية في حال حدوث قيء أو إغفال لأي جرعات (لأي سبب) بعد العلاج بعقار زولجينزما. لا توقف العلاج بالكورتيكوستيرويدات قبل مناقشة الأمر مع طبيب طفلك **أو مقدم** الرعاية الصحية.

إذا كان لديك أي أسئلة بشأن الكورتيكوستيرويدات، فتحدَث إلى طبيب طفلك أو الممرض(ة) أو الصيدلي/غيرهم من أخصائيي الرعاية الصحية.

3. بعد العلاج *(تابع)*

المتابعات المنتظمة

بعد العلاج بعقار زولجينزما، سيواصل طفلك الخضوع للإشراف المنتظم من جانب طاقم رعاية صحية مُخَصص. سيحتاج طفلك إلى حضور زيارات متابعة حسب الضرورة، سواء كانت لإجراء فحوصات عامة، أو إذا كان طفلك يعاني من أي آثار جانبية، أو إذا كان لديك أي مخاوف أو استفسارات.

إن معيار الرعاية المناسب لمرضى ضمور العضلات الشوكي ضروريٌّ وسيتم تقديمه شاملًا الرعاية الداعمة. من المهم أن تناقش مع طبيب طفلك كيف سيستمر طاقم الرعاية الصحية في دعم طفلك.

اختبارات الدَم المنتظمة

بعد العلاج بعقار زولجينزما سيخضع طفلك لاختبارات دم منتظمة لما يلي:

- وظائف الكبد – سيتم إجراء هذه الاختبارات لمدة ٣ أشهر على الأقل بعد العلاج لرصد الزيادات في إنزيمات الكبد. إذا ساءت وظائف الكبد لدى طفلك بعد العلاج بعقار زولجينزما، أو ظهرت عليه أي علامات مرضية، فسيُخضِعه الطبيب فورًا للتقييم والمراقبة عن كثب.
- تعداد الصفائح الدَّموية ومستويات تروبونين-آي – ستُجرى هذه الاختبارات لفترة من الوقت بعد العلاج لرصد التغيُّرات في الصفائح الدَّموية ومستويات تروبونين-آي.

وفقًا لنتائج اختبارات الدَّم هذه، بالإضافة إلى العلامات والأعراض الأخرى، قد يلزم إجراء مزيد من الاختبارات. من المُهِم اتباع جدول مواعيد اختبارات الدَّم بدقة وإبلاغ الطاقم الطبي لطفلك على الفور بجميع العلامات والأعراض التي قد تصيبه بعد تلقيه العلاج.

التعامل مع فضلات طفلك

١
شهر واحد

قد يتم التَّخلص من بعض المادة الفعَّالة الموجودة في عقار زولجينزما في فضلات طفلك بعد العلاج. يجب عليك وعلى الأشخاص الآخرين الذين يعتنون بطفلك اتباع الممارسات الجيدة لنظافة اليدين على النحو المُوَضَّح أدناه لمدة شهر واحد على الأقل بعد تلقي طفلك للعلاج بعقار زولجينزما.

ارتدِ قفازات واقية عند ملامسة سوائل جسم طفلك (البول) أو فضلاته (البراز) بشكل مباشر.

اغسل يديك جيدًا بعد ذلك بالماء الجاري الدافئ والصابون أو استخدم معقم يدين كحوليًّا

استخدم أكياسًا بلاستيكية مزدوجة الطبقات للتخلص من الحفاضات المتسخة وغيرها من الفضلات. يمكن التخلص من الحفاضات التي تُستَخدَم لمرة واحدة مع المخلفات المنزلية.

إذا كان لديك أسئلة حول كيفية التعامل مع فضلات طفلك، فيُرجى التحدث إلى طبيب طفلك أو الممرض(ة) أو الصيدلي/غيرهم من أخصائيي الرعاية الصحية.

3. بعد العلاج *(تابع)*

الرعاية الداعمة

بالرغم من أن عقار زولجينزما يوفر نسخة تعمل بكامل طاقتها من جين SMN، فإن طفلك لا يزال مصابًا بضمور العضلات الشوكي.

تشمل العلاجات الداعمة الإضافية المُستَخدَمة لرعاية الأشخاص الذين يعانون من ضمور العضلات الشوكي ما يلي:

علاجات العظام

العلاج الطبيعي

دعم التغذية التي تتمثل في الأكل والشرب

دعم التنفس، بقناع النوم مثلًا

الوقاية من عدوى المسالك الهوائية (على سبيل المثال: الوقاية من الإنفلونزا والالتهاب الرئوي بالتطعيمات)

إزالة الإفرازات من المسالك الهوائية

سيعمل معك طاقم الرعاية الصحية المتابع لطفلك لضمان تلبية احتياجاته من الرعاية الداعمة.

متى تطلب العناية الطبية؟

اطلب العناية الطبية العاجلة في حال حدوث أي من الظروف التالية:

في بعض الحالات، قد يؤثر عقار زولجينزما على وظائف الكبد ويؤدي إلى حدوث إصابة في الكبد. العلامات المُحتَملة التي عليك التنبُّه لها بعد أن يُعطى طفلك هذا الدَّواء تشمل **القيء أو اليرقان** (اصفرار الجلد أو بياض العينين) أو **انخفاض اليقظة**.

قد يؤدي عقار زولجينزما إلى خفض تعداد الصفائح الدَّموية (نقص الصفائح الدَّموية). تحدَّث إلى طبيبك إذا لاحظت ظهور علامات مثل **الكدمات** أو **النزيف** لفترة أطول من المعتاد في حال تعرَّض طفلك للأذى.

قد يزيد عقار زولجينزما من خطر التجلط غير الطبيعي للدم في الأوعية الدَّموية الدقيقة (اعتلال الأوعية الدقيقة الخثاري). أخبِر طبيبك فورًا إذا لاحظت علامات وأعراضًا مثل **سهولة الكدمات** أو **النوبات التشنجية** أو **انخفاض في كمية البول.**

قد يؤدي عقار زولجينزما إلى ارتفاع مستويات بروتين خاص بالقلب يُسمى "تروبونين-آي" وهو ما قد يدل على وجود إصابة في القلب. تحدَّث إلى طبيبك فورًا إذا لاحظت علامات وأعراضًا مثل **تلوُّن الجلد بلون رمادي شاحب أو لون أزرق، أو صعوبة في التنفُّس** (على سبيل المثال: التنفُّس السريع أو ضيق التنفُّس) أو **تورُّم الذراعين والساقين أو انتفاخ البطن.**

لضمان عدم فقدان طفلك لجرعات الكورتيكوستيرويدات (بريدنيزولون أو ما يكافئه)، أخبر طبيبك في حال **حدوث قيء قبل العلاج بعقار زولجينزما أو بعده.**

أخبر طبيبك فورًا إذا أُصيب طفلك بأي علامات وأعراض تشير إلى حدوث عدوى (على سبيل المثال: نزلة برد أو إنفلونزا أو التهاب بالشُّعب الهوائية) **قبل** العلاج بعقار زولجينزما أو **بعده**، فربما يؤدي ذلك إلى مضاعفات أكثر خطورة قد تحتاج إلى عناية طبية عاجلة. العلامات التي عليك التنبُّه لها هي **السعال أو أزيز الصدر أو العطس أو سيلان الأنف أو التهاب الحلق** أو **الحمى.**

بيانات الاتصال بالطبيب

ستستمر مراقبة حالة طفلك بعد العلاج بعقار زولجينزما من جانب طاقم من أخصائيي الرعاية الصحية. إذا كان لديك أي مخاوف وترغب في التَّحدُّث إلى طبيب طفلك أو طاقم الرعاية الصحية، فيمكنك استخدام النموذج أدناه لتدوين بيانات الاتصال الخاصة بهم.

الاسم:
الوظيفة:
رقم التواصل:
البريد الإلكتروني للتواصل:

الاسم:
الوظيفة:
رقم التواصل:
البريد الإلكتروني للتواصل:

الاسم:
الوظيفة:
رقم التواصل:
البريد الإلكتروني للتواصل:

الاسم:
الوظيفة:
رقم التواصل:
البريد الإلكتروني للتواصل:

الاسم:
الوظيفة:
رقم التواصل:
البريد الإلكتروني للتواصل:

الاسم:
الوظيفة:
رقم التواصل:
البريد الإلكتروني للتواصل:

الكلمات الشائعة التي عليك معرفتها

الفيروس المرتبط بالفيروس الغدي ٩ (AAV9)

الفيروس المرتبط بالفيروس الغدي ٩ (AAV9) هو نوع من الفيروسات. يُمكِن تعديل فيروس AAV9 بحيث لا يُسبب المرض للبشر. في عقار زولجينزما، يكون فيروس AAV9 المُعدَّل هو الناقل المُستَخدَم في توصيل النسخة التي تعمل بكامل طاقتها من جين SMN.

الأجسام المضادة

ينتج الجهاز المناعي للجسم أجسامًا مضادة للمساعدة في حمايته من الأمراض. كل نوع من الأجسام المضادة هو نوع فريد ويدافع عن الجسم ضد نوع معين من الأمراض.

الضمور

الضمور يعني الهزال أو الانكماش. على سبيل المثال: العضلة التي تتعرَّض للهزال تُسمى عضلة ضامرة.

جذع المخ

جذع المخ هو جزء من المخ يدعم الوظائف الأساسية في الجسم ومنها التنفس والنوم. يربط جذع المخ الحبل الشوكي ببقية أجزاء المخ

الكورتيكوستيرويدات

الكورتيكوستيرويدات هو نوع من الأدوية التي تثبط الجهاز المناعي في محاولة للمساعدة على التعامل مع أي زيادة مُحتَمَلة في إنزيمات الكبد بعد العلاج بعقار زولجينزما.

الحمض النووي الريبي منزوع الأكسجين (DNA)

الحمض النووي الريبي منزوع الأكسجين (DNA) هي المادة الوراثية الموجودة في البشر وجميع الكائنات الحية الأخرى تقريبًا. كل خلية تقريبًا في جسم الإنسان بها نفس الحمض النووي

الجينات

الجينات هي مجموعات من التعليمات تخبر الجسم بكيفية صنع البروتينات. تأتي الجينات في أزواج، نسخة واحدة موروثة من كل من الوالدين

علاج جيني

العلاج الجيني هو وسيلة لعلاج أو منع تقدم مرض ما باستخدام الجينات. هناك أنواع مختلفة من العلاج الجيني تعمل بطرق مختلفة. وتشمل هذه الأنواع استبدال أو إصلاح الجينات المفقودة أو المعيبة؛ إضافة جين جديد لمساعدة دواء آخر على العمل على نحو أفضل؛ أو إيقاف التعليمات الصادرة من جين ينتج كمية أكثر مما يجب من بروتين يصبح بعد ذلك سامًا للجسم.

مرض جيني

حالة طبية ناجمة عن جين أو جينات معيبة أو مفقودة. الأمراض الجينية هي أمراض موروثة. ضمور العضلات الشوكي هو أحد الأمثلة على الأمراض الجينية.

التنقيط الوريدي

التنقيط الوريدي للعقارفي الوريد باستخدام قسطرة (أنبوب بلاستيكي) يتم إدخالها في الوريد باستخدام إبرة

الخلايا العصبية الحركية

هذا النوع الخاص من الأعصاب يحمل الإشارات من المخ إلى العضلات للتحكم في الحركة.

هناك نوعان من الخلايا العصبية الحركية: الخلايا العصبية الحركية العلوية التي تحمل الإشارات من المخ إلى جذع المخ والنُّخاع الشوكي، والخلايا العصبية الحركية السفلية التي تحمل الإشارات من الخلايا العصبية الحركية العلوية إلى العضلات.

الصفائح الدموية

نوع من الخلايا يوجد في الدَّم هو المسؤول عن تجلط الدم

بريدنيزولون

بريدنيزولون هو نوع من الأدوية تُسمى الكورتيكوستيرويدات، وهو يساعد على التعامل مع أي زيادة مُحتَمَلة في إنزيمات الكبد بعد العلاج بعقار زولجينزما.

البروتينات

البروتينات هي جزيئات مهمة تشارك في كل وظيفة في الجسم تقريبًا. تساعد البروتينات في بناء خلايا الجسم، وذلك إلى جانب مساعدة الخلايا على نقل وإنتاج المواد المهمة، والإصلاح، والبقاء على قيد الحياة

الأثر الجانبي

الأثر الجانبي هو أثر ثانوي، وغير مرغوب فيه عادةً، لدواء ما.

ضمور العضلات الشوكي

ضمور العضلات الشوكي هو مرض نادر يؤدي إلى ضعف العضلات تدريجيًّا بسبب توقف خلايا عصبية متخصصة في الجسم تتحكم في حركة العضلات، وتسمى الخلايا العصبية الحركية، عن العمل. تتدهور الخلايا العصبية الحركية وتتوقف عن العمل لأنها لا تحتوي على ما يكفي من بروتين نجاة الخلايا العصبية الحركية (أي بروتين SMN).

جين *SMN1*

جين *SMN1* هو الجين الرئيسي لنجاة الخلايا العصبية الحركية، وينتج بروتين SMN الذي تحتاج إليه الخلايا العصبية الحركية لتعمل بشكل سليم. في الأشخاص المُصابين بضمور العضلات الشوكي، تكون كلتا نسختي هذا الجين معيبتين أو مفقودتين. هذا يعني أن خلايا الجسم غير قادرة على إنتاج ما يكفي من بروتين SMN.

جين *SMN2*

يعمل جين *SMN2* بمثابة دعم "احتياطي" لدعم إنتاج بروتين SMN. لا ينتج جين *SMN2* سوى كميات ضئيلة من بروتين SMN العامل.

بروتين بقاء الخلايا العصبية الحركية (بروتين SMN)

بروتين بقاء الخلايا العصبية الحركية (SMN) ضروري لعمل الخلايا العصبية الحركية بشكل سليم وبقائها على قيد الحياة. بدون وجود ما يكفي من بروتين SMN، تتدهور الخلايا العصبية الحركية وتتوقف عن العمل. ينتج الجسم بروتين SMN من جين SMN.

ملاحظات

يمكنك الإبلاغ عن أي مشكلة أو أحداث عكسية أو طلب نسخ إضافية من المواد من خلال:
قسم سلامة المرضى في نوفارتس فارما إيه جي - المملكة العربية السعودية -.
الرقم المجاني: ٨٠٠١٢٤٠٠٧٨
الهاتف: ٠٠٩٦٦١١٢٦٥٨١٠٠
الفاكس: ٠٠٩٦٦١١٢٦٥٨١٠٧
البريد الإلكتروني: adverse.events@novartis.com
أو عن طريق الموقع الإلكتروني: https://report.novartis.com/

هيئة الغذاء والدواء السعودية، المركز الوطني للتيقظ الدوائي
مركز الاتصال المُوَحَد: ١٩٩٩٩
البريد الإلكتروني: npc.drug@sfda.gov.sa
أو عن طريق الموقع الإلكتروني: https://ade.sfda.gov.sa

المعلومات المُقَدَمة هي معلومات للأغراض التثقيفية فقط وليس الغرض منها أن تحل محل إجراء المناقشات مع طبيبك أو طاقم الرعاية المتابع لحالتك. المعلومات الواردة هي معلومات ذات صلة بضمور العضلات الشوكي ويُقصَد بها أن تكون بمثابة نظرة عامة على المرض.

امسح الكود

QR نشرة المعلومات المُوَجَهة للمريض.

© 2024 شركة نوفارتس يوروفارم المحدودة. جميع الحقوق محفوظة.

zolgensma®
(أوناسمنوجين أبيبارفوفك)

NOVARTIS