هذا الملف تم إعتماده من قبل الهيئة العامة للغذاء والدواء في السعودية
معلومات هامة للسلامة الدوائية

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

لقد أعطاك طبيب طفلك هذا الدليل لأن طفلك قد وُصِف له عقار زولجينزما® (▼) (أوناسمنوجين أبيبارفوفك).
يهدف هذا الدليل إلى تقديم معلومات عملية لدعم المناقشات مع طبيبك.

يخضع عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) لمراقبة إضافية للمساعدة في التعرُّف على الآثار الجانبية الجديدة بسرعة. إذا تعرَّض طفلك لأيَّة آثار جانبية، فتحدَّث إلى طبيبه أو الممرض(ة) أو الصيدلي/غيرهم من أخصائيي الرعاية الصحية.
يشمل ذلك أيَّة آثار جانبية مُحتَمَلة غير مُدرَجة في هذا الدليل.

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

NOVARTIS

تم إعداد هذا الدليل لتقديم معلومات مفيدة حول ما يلي:

- **عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أيبيارفوفك) وكيفية عمله**
- **المعلومات الهامَّة الخاصَّة بالأمان والآثار الجانبية المُحتَمَلة لعقار زولجينزما (أوناسمنوجين أيبيارفوفك)**
- **كل خطوة من خطوات رحلة العلاج بعقار زولجينزما (أوناسمنوجين أيبيارفوفك)**

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

جهات اتصال لتقديم المساعدة

ما هي محتويات هذا الدليل؟

معلومات حول مرض الضمور العضلي الشوكي ٤

- ماذا يُقصَد بالضمور العضلي الشوكي؟ ٤
- ما هي مسببات الضمور العضلي الشوكي؟ ٦
- مَن الذي يُصاب بالضمور العضلي الشوكي؟ ٨
- شدة الضمور العضلي الشوكي وأعراضه ١٠

معلومات حول عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك)

تعرَّف على عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) وكيفية عمله ١٢

فهم مخاطر عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك)

المعلومات الهامَّة الخاصَّة بالأمان والآثار الجانبية المُحتَمَلة لعقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) ١٤

العلاج بعقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) ١٩

- قبل العلاج ٢٠
- يوم العلاج ٢٢
- بعد العلاج ٢٤

متى تطلب العناية الطبية؟ ٢٩

الكلمات الشائعة التي عليك معرفتها ٣١

يمكنك إيجاد تعريفات مفيدة للمصطلحات المُستَخدَمة في هذا الدليل

ملاحظات ٣٣

ماذا يُقصَد بالضمور العضلي الشوكي؟

الضمور العضلي الشوكي هو حالة وراثية خطيرة ونادرة. يحدث الضمور العضلي الشوكي عندما يكون أحد إصدارات جين من الجينات اللازمة لصناعة بروتين أساسي يُسمى بروتين "بقاء الخلايا العصبية الحركية survival motor neuron (SMN)" مفقودًا أو غير طبيعي. يؤدي الافتقار إلى بروتين بقاء الخلايا العصبية الحركية إلى تلف الأعصاب التي تتحكم في العضلات (الخلايا العصبية الحركية). يؤدي ذلك إلى ضعف العضلات وهزالها، مع فقدان الحركة في نهاية المطاف وصعوبة في أداء وظائف مثل التنفس والبلع وتناوُل الطعام والتكلم.

الأشخاص السليمين

المخ

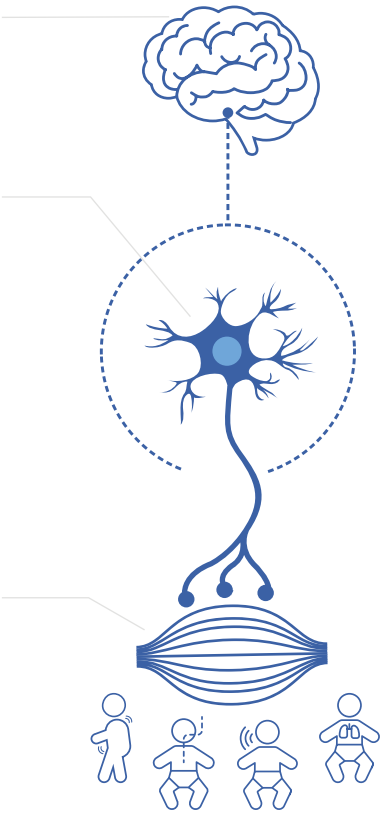
في الأشخاص السليمين، تنشأ إشارات لحركة العضلات.

الخلايا العصبية الحركية

هذا النوع الخاص من الأعصاب يحمل الإشارات من المخ إلى العضلات للتحكم في الحركة. يوجد نوعان من الخلايا العصبية الحركية: الخلايا العصبية الحركية العليا التي تحمل الإشارات من المخ إلى جذع المخ والحبل الشوكي، والخلايا العصبية السفلية التي تحمل الإشارات من الخلايا العصبية الحركية العليا إلى العضلات.

العضلات

تتقلص العضلات أو ترتخي استجابةً للإشارات التي تحملها الخلايا العصبية الحركية. يؤدي هذا إلى تحرك الجسم، وهو ضروري لوظائف مثل التنفس والبلع وتناوُل الطعام والتكلم.



على الرغم من أن الخلايا العصبية الحركية السفلية تتأثر بالضمور العضلي الشوكي، فإن القدرة على التفكير والتعلم وبناء العلاقات تظل دون تغيير

الأشخاص المُصابون بالضمور العضلي الشوكي

المخ

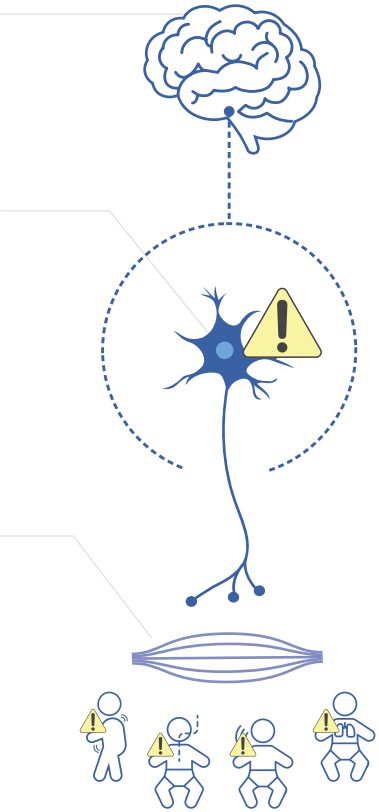
في الأشخاص المصابين، تنشأ إشارات لحركة العضلات.

اختلال وظائف الخلايا العصبية الحركية

يكون لدى الأشخاص المصابين بالضمور العضلي الشوكي طفرة جينية تؤدي إلى تدهور حالة الخلايا العصبية الحركية السفلية لديهم وتوقفها عن العمل. هذا يعني أن الإشارات الصادرة عن المخ لا تنتقل من الحبل الشوكي إلى العضلات

ضعف/هزال العضلات

إذا لم تعد العضلات تستقبل إشارات تخبرها بالتحرك، فيُمكِن أن تتعرض للهزال (الضمور) وتصبح أضعف على نحوٍ متزايد. هذا يؤدي إلى صعوبة الحركة والتنفس والبلع وتناوُل الطعام والتكلم.



ما هي مسببات الضمور العضلي الشوكي؟

الأشخاص السليمين

بروتين بقاء الخلايا العصبية الحركية

لكي تتمكن الخلايا العصبية الحركية من العمل بشكل سليم وتنجو من التلف، يحتاج الجسم، من بين أمور أخرى، إلى بروتين يُسمى بروتين بقاء الخلايا العصبية الحركية (SMN)؛ فبدون بروتين بقاء الخلايا العصبية الحركية، تتوقف الخلايا العصبية الحركية عن العمل وتموت، وتصبح العضلات أضعف مع فقدان الحركة في نهاية المطاف ومواجهة صعوبة في أداء وظائف مثل التنفس والبلع وتناوُل الطعام والتكلم.

جينات بقاء الخلايا العصبية الحركية

في الأشخاص السليمين، يستطيع الجسم إنتاج بروتين بقاء الخلايا العصبية الحركية من جينات تُسمى جينات بقاء الخلايا العصبية الحركية. هناك نوعان من جين ***SMN*** هما ***SMN1*** و***SMN2***:

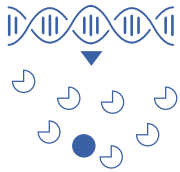
بقاء الخلايا العصبية الحركية ١ *(SMN1)*

جين بقاء الخلايا العصبية الحركية ١ هو الجين الرئيسي وينتج المقدار الأكبر من بروتين بقاء الخلايا العصبية الحركية الذي تحتاجه الخلايا العصبية الحركية للعمل بشكل سليم.

بروتين بقاء الخلايا العصبية الحركية العامل

بقاء الخلايا العصبية الحركية ٢ *(SMN2)*

على الرغم من أن جين بقاء الخلايا العصبية الحركية ٢ ينتج أيضًا بروتين بقاء الخلايا العصبية الحركية، فإنه يُشَكِّل إصدارات عديدة من هذا البروتين وكميات صغيرة منها فقط التي تعمل بشكل سليم ("بروتين بقاء الخلايا العصبية الحركية العامل"). لذا، فإن جين بقاء الخلايا العصبية الحركية ٢ يعمل بمثابة دعم "احتياطي" لإنتاج بروتين بقاء الخلايا العصبية الحركية، ولكنه غير قادر على إنتاج كمية كافية من بروتين البقاء بمفرده

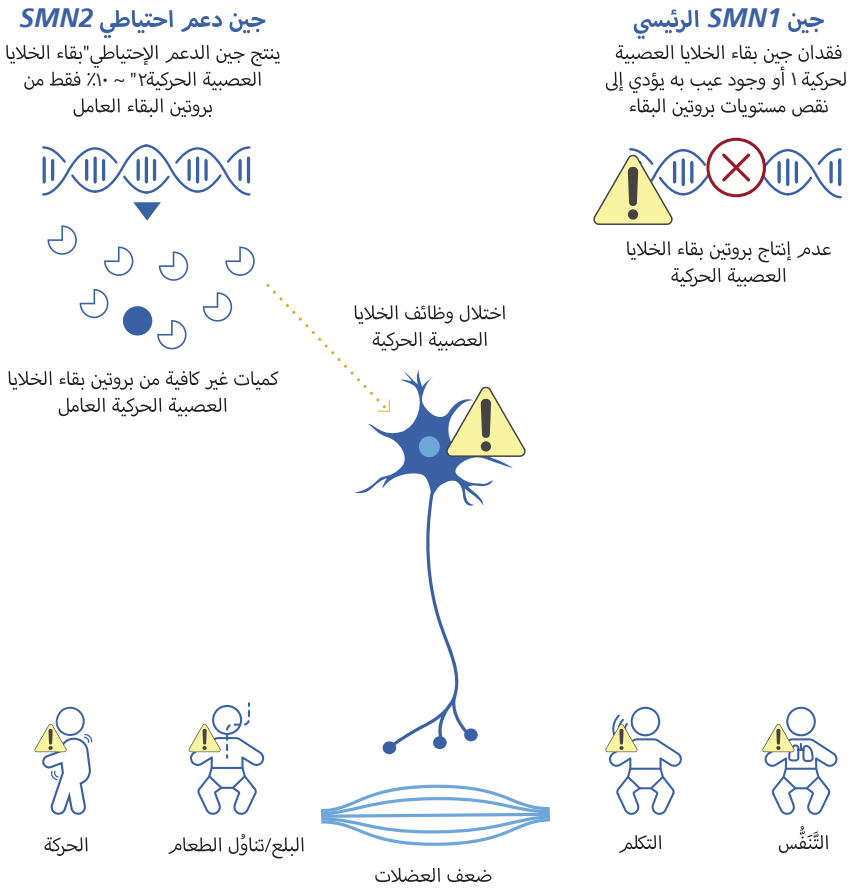


كميات غير كافية من بروتين بقاء الخلايا العصبية الحركية العامل

الأشخاص المُصابون بالضمور العضلي الشوكي

في الأشخاص المُصابين بالضمور العضلي الشوكي، يكون الجين *SMN1* إما معيبًا (متحوراً) أو مفقودًا تمامًا

لا يُمكِن أن ينتج جين بقاء الخلايا العصبية الحركية ٢ ما يكفي من البروتين العامل لتعويض فقدان جين بقاء الخلايا العصبية الحركية ١. نتيجة لذلك، في حالات الضمور العضلي الشوكي، لا يوجد ما يكفي من بروتين بقاء الخلايا العصبية الحركية العامل الذي يُنتَج للحفاظ على صحة الخلايا العصبية الحركية وعملها بشكل سليم.

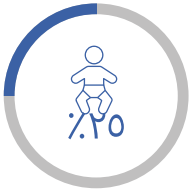


من الذي يصاب بالضمور العضلي الشوكي ؟

نظرًا إلى أن الضمور العضلي الشوكي ناجم عن جين معيب (متحور) أو مفقود، فهو يُعتبَر مرض جيني وعادةً يكون موروثًا

يرث الطفل نسختين من كل جين، واحدة من أمه والأخرى من أبيه. بالنسبة إلى الطفل المولود مُصابًا بمرض الضمور العضلي الشوكي، فيجب أن يرث جينًا معيبًا من كل من أمه وأبيه. في مرض الضمور العضلي الشوكي، إذا كانت أي من نسختي الجين (من الأم أو من الأب) معيبة، فإن الجين غير المُصاب للطرف الآخر من الوالدين يُمكِنه ضمان إنتاج ما يكفي من بروتين بقاء الخلايا العصبية الحركية لتعمل الخلايا العصبية الحركية بشكل سليم. الأشخاص الذين لديهم نسخة غير مُصابة من جين *SMN1* وأخرى معيبة يُعرَفون باسم "الحاملين" وعادةً لا تظهر عليهم أيَّة أعراض. غالبية حاملي الجين ليس لديهم فكرة بأنهم يحملون جينًا معيبًا حتى يولد لهم طفل مُصاب بالضمور العضلي الشوكي

يوجد **نحو شخص واحد من كل ٥٠ شخصًا** حامل لمرض الضمور العضلي الشوكي، ولو أن هذا سيتباين قليلًا حسب موقعك الجغرافي

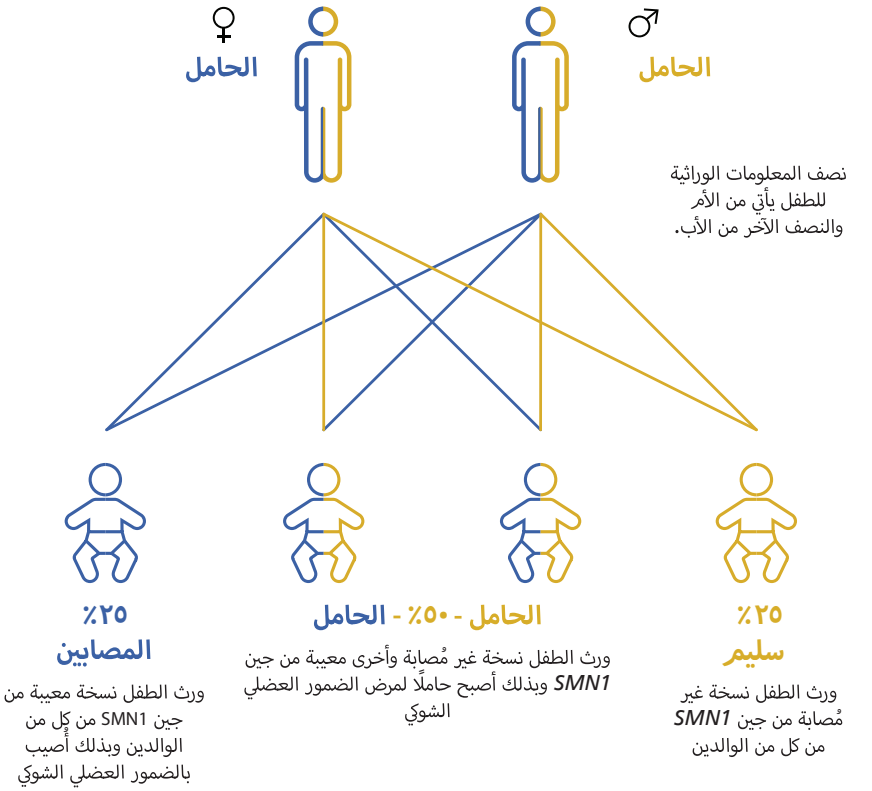


تبلغ فرصة أن ينجب والدان حاملان للمرض طفلًا مُصابًا بالضمور العضلي الشوكي **٢٥٪** في كل حالة حَمْل.

الضمور العضلي الشوكي هو مرض نادر، يصيب نحو **طفل واحد من كل ١٠٠٠٠ طفل حديث الولادة**، ويُمكِن أن يؤثر على أي عِرْق أو جنس.

كيف يورث الضمور العضلي الشوكي؟

يحدث عادةً الضمور العضلي الشوكي إذا ورث الطفل نسختين من جين SMN1 المعيب أو المفقود، واحدة من أمه والأخرى من أبيه. يُشار إلى هذا النوع من نمط الوراثة على أنه "متنحٍ"، ويعني ذلك، بشكل عام، أن أبوي الطفل السليمين وحاملين للجين المعيب أو المفقود تكون فرصة الإصابة تقدر ب ٢٥٪



سليم حامل مصاب بالضمور العضلي الشوكي

ستحمل جميع حالات الحَمْل المستقبلية نفس الفرصة البالغة نسبتها ٢٥٪ لإنجاب طفل مُصاب بالضمور العضلي الشوكي، لذلك من المهم مناقشة خياراتك مع طاقمك الطبي عند اتخاذ قرارات بشأن زيادة عدد أفراد أسرتك.

شدة الضمور العضلي الشوكي وأعراضه

قد تسمع أن الطاقم الطبي لطفلك يشير إلى مصطلح "المعالم الحركية"، وهي قدرات وظيفية تساعد في تقييم الضمور العضلي الشوكي ومدى تطوره. تتضمن المعالم الحركية ذات الصلة بالأطفال المُصابين بالضمور العضلي الشوكي قدرتهم على:

رفع رؤوسهم

الإمساك بشيء ما في أيديهم

الزحف

الجلوس

التدحرج

الوقوف والمشي

تُستَخدَم هذه المعالم، جنبًا إلى جنب مع العُمْر الذي تبدأ عنده الأعراض، للمساعدة في تحديد شدة الضمور العضلي الشوكي

كلما ظهرت أعراض الضمور العضلي الشوكي مبكرًا، زادت الشدة المُحتَمَلة للمرض. بهذه الطريقة، يمكن أن تكون نماذج الطفولة من الضمور العضلي الشوكي خادعة ويصعب تشخيصها، حيث يُمكِن أن يظهر الأطفال غير مصابين عند الولادة أو حتى في وقت لاحق من مرحلة الطفولة.

كلما كان مبكرًا، كان أكثر شدةً

في أغلب الأحيان، تظهر أعراض الضمور العضلي الشوكي خلال الأشهر الستة الأولى من حياة الطفل، ولكن في بعض الحالات، قد تحدث الأعراض قبل الولادة، مع ملاحظة الأمهات أن حركات أطفالهم تبطؤ في الأسابيع الأخيرة من الحَمْل

كلما كان لاحقًا، كان أقل شدةً

فيما يخص الأطفال الآخرين، قد لا تظهر الأعراض إلا بعد مرور فترة طويلة في مرحلة الطفولة أو المراهقة. أحيانًا لا تظهر الأعراض حتى مرحلة البلوغ

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

الضمور العضلي الشوكي، بقاء الخلايا العصبية الحركية.

الضمور العضلي الشوكي هو مرض له مجموعة من الأعراض التي قد تتباين في شدتها

السن عند ظهور الأعراض

	أنواع الضمور العضلي الشوكي	الأعراض
الولادة	**انخفاض حركة الجنين (الضمور العضلي الشوكي، النوع صفر)**	في أشد أشكال الضمور العضلي الشوكي، تبدأ الأعراض عادةً في الظهور قبل الولادة. قد تبطؤ حركات الطفل أثناء الحَمْل.
≥ ٦ أشهر	**عدم القدرة على الجلوس بشكل مستقل (الضمور العضلي الشوكي، النوع ١)**	**تتطور الأعراض عادةً حسب السن ٦ أشهر وتتضمن ما يلي:** • ضعف التحكم في الرأس • ضعف الساقين والذراعين • صعوبة في التَّنفس والبلع • سُعال وبكاء ضعيفان
١٨ شهرًا	**القدرة على الجلوس وربما الوقوف بشكل مستقل، وعدم القدرة على المشي بشكل مستقل (الضمور العضلي الشوكي، النوع ٢)**	**تظهر الأعراض عادةً بين سن ٦ و١٨شهرًا وتشمل:** • ضعف الساقين والذراعين • المكافحة من أجل الجلوس دون دعم • بطء/فقدان المعالم الحركية • صعوبات في البلع والسعال • رعشة • ألمًا وصعوبة في تحريك المفاصل • التواء العمود الفقري أو تقوسه • صعوبة في التَّنفس في بعض الحالات
١٨ عامًا	**المشي المستقل (الضمور العضلي الشوكي، النوع ٣)**	تحدث الأعراض عادةً منذ مراحل مبكرة من الطفولة (<18 شهرًا) حتى مراحل متأخرة من المراهقة. الأشخاص المُصابون بهذا الشكل من الضمور العضلي الشوكي قد يُعانون من ضعف التَّوازن ومشاكل في النهوض والمشي أو صعود الدرج.
	المشي المستقل في مرحلة البلوغ (الضمور العضلي الشوكي، النوع ٤)	في الأشكال الأخف من الضمور العضلي الشوكي، لا تظهر الأعراض حتى مرحلة البلوغ. الأشخاص المُصابون بهذا الشكل من الضمور العضلي الشوكي يُعانون عادةً من ضعف طفيف، بدون صعوبات في التَّنَفُّس

الضمور العضلي الشوكي، بقاء الخلايا العصبية الحركية.

معلومات حول عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك)

يُستَخدَم عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) لعلاج الرُضَّع وصغار الأطفال ممن يُعانون من حالة نادرة وخطيرة ووراثية تُسمى "الضمور العضلي الشوكي"

كيف يعمل عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) ؟

لا يغير عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) الحمض النووي لطفلك، ولكنه يستبدل وظيفة جين بقاء الخلايا العصبية الحركية المعيب أو المفقود. يعمل عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) عن طريق توفير نسخة تعمل بكامل طاقتها من جين بقاء الخلايا العصبية الحركية الذي يساعد الجسم بعد ذلك على إنتاج ما يكفي من بروتين البقاء. تُؤخذ نسخة جين بقاء الخلايا العصبية الحركية إلى الخلايا حيث توجد الحاجة إليه عن طريق وسيلة لتوصيل الجينات تُعرَف باسم "الناقل".

يُصنع الناقل الذي يوصل جين بقاء الخلايا العصبية الحركية من فيروس مُعَدَّل يُسمى الفيروس المرتبط بالفيروس الغدي ٩ أو (AAV٩). هذا النوع من الفيروسات المعدلة لا يُسبب الأمراض لدى البشر. لتصنيع الناقل، يُزال معظم الحمض النووي الريبي منزوع الأكسجين للفيروس ويوضع بداخله جين بقاء الخلايا العصبية الحركية الجديد.

الفيروس المرتبط بالفيروس الغدي، الحمض النووي الريبي منزوع الأكسجين الضمور العضلي الشوكي، بقاء الخلايا العصبية الحركية.

١

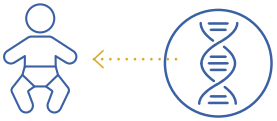
يحتوي عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) على نسخة تعمل بكامل طاقتها من جين بقاء الخلايا العصبية الحركية

٢

في عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) ، يوضع جين بقاء الخلايا العصبية الحركية داخل فيروس مُعَدَّل (AAV9) لا يُسبب أمراضًا للبشر

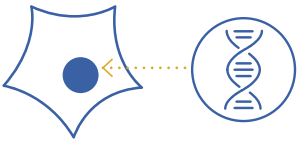
٣

يُعطى عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) عن طريق الوريد لطفلك



٤

ينتقل الفيروس المُعَدَّل في عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) عبر الجسم ويوصل جين بقاء الخلايا العصبية الحركية إلى الخلايا حيث توجد حاجة إليه



٥

يساعد عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) الجسم على إنتاج ما يكفي من بروتين بقاء الخلايا العصبية الحركية، وذلك عن طريق توفير نسخة تعمل بكامل طاقتها من الجين

عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) في الحالات المتقدمة من الضمور العضلي الشوكي

بإمكان عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك)إنقاذ الخلايا العصبية الحركية التي لا تزال حية وقادرة على النمو، وليس الخلايا العصبية الحركية الميتة. قد يكون لدى الأطفال الذين يُعانون من أعراض أقل شدة للضمور العضلي الشوكي ما يكفي من الخلايا العصبية الحركية الحية للاستفادة من العلاج بعقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك). قد لا يكون عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) فعّالًا أيضًا في الأطفال الذين يُعانون من أعراض شديدة.

الفيروس المرتبط بالفيروس الغدي، الحمض النووي الريبي منزوع الأكسجين الضمور العضلي الشوكي، بقاء الخلايا العصبية الحركية.

فهم مخاطر عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك)

مثل كافة الأدوية، قد يكون لعقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) آثارًا جانبية، على الرَّغم من عدم حدوثها لدى الجميع

إذا تعرَّض طفلك لأيَّة آثار جانبية، فتحدَّث إلى طبيبه أو الممرض(ة) أو الصيدلي/غيرهم من أخصائيي الرعاية الصحية فورًا

المعلومات الهامَّة الخاصَّة بالأمان ومتى يكون عليك طلب العناية الطبية"

مشاكل الكبد

قبل إعطاء طفلك هذا الدَّواء، أخبر الطاقم الطبي المتابع له في حال كان طفلك مُصاباً أو أُصيب من قبل بأية مشاكل في الكبد. في بعض الحالات يمكن أن يسبب عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) استجابةً مناعيةً قد تؤدي إلى زيادة في الأنمزيمات (البروتينات الموجودة داخل الجسم) التي ينتجها الكبد أو إصابة في الكبد.

يمكن أن تؤدي إصابة الكبد إلى نتائج خطيرة ، بما في ذلك الفشل الكبدي والوفاة

العلامات المُحتملة التي عليك البحث عنها بعد إعطاء طفلك هذا الدَّواء تشمل القيء واليرقان (اصفرار الجلد أو بياض العينين) أو انخفاض الإنتباه.

أخبر طبيب طفلك على الفور إذا لاحظت ظهور أي أعراض على طفلك توحي بإصابة الكبد.

تشكُّل جلطات دموية غير طبيعية

قد يزيد عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) من احتمالية التعرض لخطر الإصابة بجلطات دموية غير طبيعية في الأوعية الدَّموية الدقيقة (اعتلال الأوعية الدقيقة الخثاري) بشكل عام خلال الأسبوعين الأولين بعد علاج زولجينزما. قد تؤثر هذه الجلطات الدموية على كُليتي طفلك. أخبِر طبيبك فوراً إذا لاحظت علامات وأعراض مثل سهولة التعرُّض لكدمات أو نوبات تشنجية أو انخفاض في إخراج البول.

يجب الاهتمام بهذه العلامات والأعراض عن كثب ، لأن تخثر الدم غير الطبيعي (اعتلال الأوعية الدقيقة الخثاري) أمر خطير ويمكن أن يهدد الحياة إذا لم يتم علاجه.

انخفاض تعداد الصَّفائح الدَّموية

قد يؤدي عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) إلى خفض تعداد الصفائح الدَّموية (نقص الصفائح الدَّموية)، بشكل عام خلال الأسبوعين الأولى بعد علاج زولجينزما. العلامات المُحتَمَلة لانخفاض عدد الصفائح الدَّموية التي عليك البحث عنها بعد إعطاء طفلك عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) تتضمن الحالات غير الطبيعية من الكدمات أو النزيف.

تحدث إلى طبيبك إذا رأيت علامات مثل الكدمات أو النزيف لفترة أطول من المعتاد إذا أصيب طفلك.

تروبونين-١

يُمكِن أن يؤدي عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) إلى رفع مستويات بروتين من بروتينات القلب يُسمى تروبونين-١وهو ما قد يدل على وجود إصابة في القلب. عليك البحث عن العلامات المُحتَمَلة لمشاكل القلب بعد إعطاء طفلك عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك)، مثل تلوُّن الجلد بلون رمادي شاحب أو لون أزرق، أو صعوبة في التَّنَفُّس (على سبيل المثال: التَّنَفُّس السريع أو ضيق التَّنَفُّس) 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 -١ قبل العلاج بعقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك). لمدة ٣ أشهر على الأقل بعد العلاج، سيخضع طفلك لاختبارات دم منتظمة لفحص وظائف الكبد ومراقبة حالة الطفل تحسباً لحدوث تغيُّرات في الصفائح الدَّموية ومستويات تروبونين -١. اعتمادًا على القيم والعلامات والأعراض الأخرى ، قد تكون هناك حاجة إلى مزيد من التقييمات.
سيقرر طبيب طفلك فترة إجراء الاختبارات.

يرجى الرجوع إلى النشرة المرفقة مع دواء طفلك للحصول على مزيد من المعلومات حول زولجينزما ، لا تتردد في التحدث إلى الفريق الطبي لطفلك إذا كان لديك أي أسئلة

فهم مخاطر عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أيبارفوفك)

(يتبع)

مثل كافة الأدوية، قد يكون لعقار زولجينزما (أوناسمنوجين أيبارفوفك) آثارًا جانبية، على الرَّغم من عدم حدوثها لدى الجميع

إذا تعرَّض طفلك لأيَّة آثار جانبية، فتحدَّث إلى طبيبه أو الممرض(ة) أو الصيدلي/غيرهم من أخصائيي الرعاية الصحية فورًا

الحساسية

يجب ألا يُعطى طفلك عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أيبارفوفك) إذا كان لديه حساسية تجاه أيٍّ من مكوناته.

(المكونات المذكورة في القسم السادس من النشرة الطبية, المرفقة مع دواء طفلك).

تناوُل أدوية أخرى مع عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أيبارفوفك)

سيُعطى عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أيبارفوفك) لطفلك مرة واحدة فقط. أخبر طبيب طفلك أو الممرض(ة) إذا كان طفلك يتناول أو تناول مؤخرًا أو قد يتناول أيَّة أدوية أخرى

الكورتيكوستيرويدات

سيتم إعطاء طفلك أيضًا الكورتيكوستيرويدات لفترة من الوقت قبل وبعد العلاج بزولجينزما. ستختلف المدة التي سيتم فيها إعطاء الكورتيكوستيرويدات لطفلك بعد علاج زولجينزما تبعًا لقيم إنزيمات الكبد والعلامات والأعراض الأخرى ، وسيقررها طبيب طفلك. هذه الفترة ستكون بحد أدنى شهرين ، ويمكن أن تصل إلى عام واحد أو أكثر
ستساعد الكورتيكوستيرويدات في إدارة أي زيادة محتملة في إنزيمات الكبد يمكن أن يطورها طفلك بعد الاستجابة المناعية لـ Zolgensma. سيتم تحديد جرعة الكورتيكوستيرويد التي سيتلقاها طفلك من قبل طبيب طفلك حسب وزن طفلك

أثناء تناول جرعات الكورتيكوستيرويد ، قد يواجه طفلك عدوى جديدة أو أمراض الأطفال المعتادة الأخرى التي قد تتطلب استخدام أدوية أخرى. قبل العلاج بأية أدوية أخرى ، أو إذا كانت لديك أي أسئلة حول الكورتيكوستيرويدات ، فمن المهم استشارة طبيب طفلك أو الممرضة أو الصيدلي / أخصائي رعاية صحية آخر

العدوى

قد يعاني طفلك من ضعف في جهاز المناعة بسبب الكورتيكوستيرويدات ، مما يعني أن العدوى التي يمكن للأشخاص الأصحاء محاربتها عادةً قد تجعل طفلك يعاني من مرض خطير. إذا أصيب طفلك بعدوى (مثل البرد أو الأنفلونزا أو التهاب القصيبات) قبل أو بعد العلاج بزولجينزما، فقد يؤدي ذلك إلى مضاعفات أخرى أكثر خطورة قد تتطلب عناية طبية عاجلة.

يجب أن تخبر طبيب طفلك على الفور إذا لاحظت ظهور أي علامات وأعراض على طفلك
توحي بالعدوى قبل أو بعد علاج زولجينزما مثل:

- سعال
- عطس
- التهاب الحلق
- أزيز بالصدر
- سيلان الأنف
- حمَّى

من المهم منع العدوى قبل وبعد العلاج بزولجينزما عن طريق تجنب المواقف التي قد تزيد من خطر إصابة طفلك بالعدوى. يمكنك أنت وأي شخص آخر على اتصال وثيق بطفلك المساعدة في منع العدوى باتباع النظافة الجيدة لليدين ، والسعال / العطس الجيد ، والحد من الاتصالات المحتملة.

اللقاحات

نظرًا لأن الكورتيكوستيرويدات يمكن أن تؤثر على جهاز المناعة في الجسم ، فقد يقرر طبيب طفلك تأخير إعطاء بعض التطعيمات لطفلك أثناء تلقيه العلاج بالكورتيكوستيرويد. تحدث إلى طبيب طفلك أو الممرضة أو الصيدلي / أخصائي رعاية صحية آخر إذا كان لديك أي أسئلة.

فهم مخاطر عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك)

(يتبع)

خلاصة القول، اطلب العناية الطبية العاجلة إذا أُصيب طفلك بأيٍّ من العلامات أو الأعراض التَّالية:

- **كدمات أو نزيف** لفترة أطول من المعتاد إذا تعرَّض طفلك لجرح - قد تكون هذه علامات حدوث انخفاض في عدد الصَّفائح الدَّموية (نقص الصَّفائح الدَّموية).
- **سهولة التعرُّض لكدمات أو التعرُّض لنوبات تشنجية أو انخفاض في إخراج البول** - قد تكون هذه علامات على الإصابة بجلطة دموية غير طبيعية في الأوعية الدَّموية الدقيقة (اعتلال الأوعية الدقيقة الخثاري) يجب الأنتباه جيدا لهذه الأعراض و العلامات لأن الأصابة بجلطة دموية قد يكون خطيرا أذا لم يتم علاجه.
- **قيء** أو **يرقان** (اصفرار الجلد أو بياض العينين) أو **انخفاض الانتباه** - قد تكون هذه علامات تشير إلى احتمالية وجود مشاكل في الكبد تتضمن فشل كبدي.
- **تلوُّن الجلد بلون رمادي شاحب أو لون أزرق، أو صعوبة في التَّنَفُّس** (على سبيل المثال: التَّنَفُّس السريع أو ضيق التَّنَفُّس) أو **تورُّم الذراعين والساقين أو انتفاخ البطن** قد تكون هذه علامات لمشاكل محتملة في القلب.
- **سعال أو أزيز بالصدر أو عطس أو سيلان الأنف أو التهاب الحلق أو حُمَّى** - قد تكون هذه علامات تشير إلى الإصابة بعدوى (على سبيل المثال: نزلة برد أو التهاب الشُّعب الهوائية).

للمزيد من التفاصيل بخصوص الاثار الجانبية، نرجو مطالعة نشرة المريض

العلاج بعقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك)

ستساعدك الخطوات الواردة في الصفحات التَّالية وستساعد أسرتك في فهم ما عليهم توقعه مستقبلًا

١ قبل العلاج

٢ يوم العلاج

٣ بعد العلاج

١. قبل العلاج

قبل اتخاذ القرار أن علاج الزولجينزما مناسب لطفلك, سوف يقوم الطبيب باجراء اختبار مضادات الأجسام قبل بدء العلاج.

اختبار الأجسام المضادة للفيروس المرتبط بالفيروس الغدي ٩

ينتج الجهاز المناعي للجسم أجسام مضادة للمساعدة في حمايته من الأمراض. يُمكِن أن يؤدي وجود أجسام مضادة معينة، تُسمى الأجسام المضادة للفيروس المرتبط بالفيروس الغدي٩، إلى حدوث استجابة مناعية لدى الطفل تجاه عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) . للمساعدة في اتخاذ قرار بشأن هل عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) مناسب لطفلك أم لا، سيجري طبيب طفلك فحوصات للأجسام المضادة قبل العلاج.
قد يكون لدى طفلك ارتفاعات في مستويات الأجسام المضادة للفيروس المرتبط بالفيروس الغدي٩ ، إذا كان المولود حديث الولادة، من الممكن أن تكون الأجسام المضادة التي انتقلت من الام إلى الطفل أثناء الحمل. ستنخفض هذه الارتفاعات غالباً بمرور الوقت بعد الولادة. إذا كان هناك ارتفاع في مستوى الأجسام المضادة للفيروس المرتبطة بالفيروس الغدي ٩ بعد الخضوع للاختبار الأول لطفلك فسيكون مؤهلاً لإعادة الاختبار بعد فترة من الوقت. إذا كان لديك أية أسئلة، فاستشر طبيب طفلك

اختبارات الدَّم

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

- وظائف الكبد
- وظائف الكلى
- مقدار خلايا الدَّم (من ضمنها خلايا الدَّم الحمراء والصفائح الدَّموية)
- مستوى التروبونين-١

ستساعد هذه القياسات طبيبك في مراقبة المستويات لدى طفلك بعد العلاج بعقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) .

الكورتيكوستيرويدات

قبل ٢٤ ساعة من العلاج بعقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) ، ستُعطى لطفلك الكورتيكوستيرويدات لمعالجة الزيادات المُحتَمَلة في أنزيمات الكبد.
سيحدد طبيب طفلك جرعة الكورتيكوستيرويد التي يتلقاها طفلك وفقًا لوزن الطفل. 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 (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) .

العدوى

من المُهم أن تُبلِغ طبيب طفلك أو الممرض(ة) أو الصيدلي/غيرهم من أخصائيي الرعاية الصحية فوراً إذا أُصيب طفلك بأعراض تنذر بحدوث عدوى. إذا أُصيب طفلك بأعراض قبل أو بعد العلاج بعقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك)، فقد يستلزم الأمر تأخير عملية التَّسريب الوريدي حتى تزول العدوى. إذا أُصيب طفلك بأعراض تنذر بحدوث عدوى بعد العلاج بعقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك)، فقد يؤدي ذلك إلى مضاعفات طبية قد تتطلب تدخل طبي سريع.
انظر صفحة ١٧ للإطلاع على علامات العدوى المُحتَمَلة.

الصحة العامة:

قبل العلاج بعقار زولجينزما, من الضروري أن الحالة الصحية لطفلك جيدة أو يجب تـأجيل العلاج. يتضمن هذا رطوبة الجسم و التغذية الجيدة و عدم وجود عدوى.

إذا كان لديك أي قلق من الصحة العامة لطفلك قبل العلاج بعقار زولجينزما, أخبر طبيب طفلك أو الممرض (ة) أو الصيدلي / غيرهم من أخصائي الرعاية الصحية.

٢. يوم العلاج

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

الكورتيكوستيرويدات

قبل ٢٤ ساعة من العلاج بعقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك)، ستكون قد أُعطيت الجرعة الأولى من الكورتيكوستيرويدات لطفلك.

انظر صفحة ٢١ للاطلاع على معلومات حول جرعات الكورتيكوستيرويد قبل العلاج بعقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك).

في يوم تلقي العلاج، سيتلقى طفلك الجرعة الثانية من الكورتيكوستيرويدات الفموية حسب وصف الطبيب. يمثل نظام جرعات الكورتيكوستيرويد أهمية في معالجة أي زيادات مُحتَمَلة في أنزيمات الكبد. لضمان عدم فقدان طفلك لجرعات الكورتيكوستيرويد، أخبر طبيب طفلك أو الممرض(ة) أو الصيدلي/غيرهم من أخصائيي الرعاية الصحية في حال حدوث قيء بعد العلاج بالكورتيكوستيرويد.

سيُعطى عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) لطفلك مرة واحدة فقط.

تسريب عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك)

60 دقيقة

سيُعطى عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) لطفلك عن طريق التَّسريب 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 الضمور العضلي الشوكي إعطاء التَّسريب. سيستغرق التَّسريب نحو ٦٠ دقيقة.

سيحدد طبيب طفلك كمية عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) التي سيتلقاها طفلك وفقًا لوزن الطفل.

الضمور العضلي الشوكي، بقاء الخلايا العصبية الحركية.

٣. بعد العلاج

سيقرر طبيب طفلك مدة إقامته في المستشفى بعد تلقي العلاج بعقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) . إذا كان لديك أيّة أسئلة، فتحدَّث إلى الطاقم الطبي لطفلك.

الآثار الجانبية المُحتملة

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

اطلب العناية الطبية العاجلة إذا أُصيب طفلك بأي من الآثار الجانبية الخطيرة أو الأعراض التَّالية

- **كدمات أو نزيف** لفترة أطول من المعتاد إذا تعرَّض طفلك لجرح - قد تكون هذه علامات حدوث انخفاض في عدد الصَّفائح الدَّموية (نقص الصَّفائح الدَّموية).
- **سهولة التعرُّض لكدمات أو التعرُّض لنوبات تشنجية أو انخفاض في إخراج البول** - قد تكون هذه علامات على الإصابة بجلطة دموية غير طبيعية في الأوعية الدَّموية الدقيقة (اعتلال الأوعية الدقيقة الخثاري) يجب الأنتباه جيدا لهذه الأعراض و العلامات لأن الأصابة بجلطة دموية قد يكون خطيراً أذا لم يتم علاجه.
- **قيء** أو **يرقان** (اصفرار الجلد أو بياض العينين) أو **انخفاض اليقظة** - قد تكون هذه علامات تشير إلى احتمالية وجود مشاكل في الكبد تتضمن تلف في الكبد.
- **تلوُّن الجلد بلون رمادي شاحب أو لون أزرق، أو صعوبة في التَّنَفُّس** (على سبيل المثال: التَّنَفُّس السريع أو ضيق التَّنَفُّس) أو **تورُّم الذراعين والساقين أو انتفاخ البطن أو انتفاخ في البطن. قد تكون هذه علامات لمشاكل محتملة في القلب.**
- **سعال أو أزيز بالصدر أو عطس أو سيلان الأنف أو التهاب الحلق أو حُمَّى** - قد تكون هذه علامات تشير إلى الإصابة بعدوى (على سبيل المثال: نزلة برد أو التهاب الشُّعب الهوائية).

تحدَّث إلى الطاقم الطبي لطفلك فورًا إذا أُصيب طفلك بأيَّة آثار جانبية أخرى.

قد تشمل:

شائعة جدًّا (قد تُؤثر على أكثر من شخص واحد من بين كل ١٠ أشخاص)

- لوحظ حدوث زيادات في أنزيمات الكبد في نتائج اختبارات الدَّم.

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

- قيء
- حمَّى

الإبلاغ عن الآثار الجانبية:

إذا تعرَّض طفلك لأيَّة آثار جانبية، أو لديك قلق من أي مشكلة فتحدَّث إلى طبيبه أو الممرض(ة) أو الصيدلي/غيرهم من أخصائيي الرعاية الصحية.

يشمل ذلك أيَّة آثار جانبية مُحتَمَلة مذكورة أو غير مذكورة في هذا الدليل.

يمكنك أيضًا الإبلاغ عن الآثار الجانبية بشكل مباشر عبر نظام الإبلاغ الوطني. من خلال إبلاغك عن الآثار الجانبية، يمكنك المساعدة في توفير معلومات إضافية حول أمان استخدام هذا الدَّواء.

راجع الصفحة الأخيرة لمعلومات أكثر حول طريقة الإبلاغ عن الآثار الجانبية

٣. بعد العلاج

الكورتيكوستيرويدات

سيُعطى لطفلك العلاج بالكورتيكوستيرويد يوميًّا لنحو شهرين بعد إعطائه عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) . قد تطول هذه الفترة إذا لم تنخفض أنزيمات الكبد لدى الطفل بالسرعة الكافية، حتى تنخفض إلى مستوى مقبول. سيجري خفض جرعة الكورتيكوستيرويد 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، أخبر طبيب طفلك أو الممرض(ة) أو الصيدلي/غيرهم من أخصائيي الرعاية الصحية في حال حدوث قيء أو إغفال أي جرعات (لأي سبب) بعد العلاج بعقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك).

إذا كان لديك أي سؤال عن الكورتيكوستيرويدات. أخبر طبيب طفلك أو الممرض (ة) أو الصيدلي / غيرهم من أخصائي الرعاية الصحية.

متابعات دورية

بعد العلاج بعقار زولجينزما, سيخضع طفلك لمتابعة دورية من فريق طبي متخصص. سيحتاج طفلك الى القيام بزيارات دورية سواء للمتابعة العامة أو في حالة حدوث أعراض جانبية أو إذا كنت قلقاً أو لديك أي أسئلة.

الرعاية الطبية المتخصصة لمرضى ضمور العضلات الشوكي متضمنة الرعاية الداعمة ضرورية و سيتم تقديمها لطفلك. من المهم أن تناقش مع طبيب طفلك كيف سيتم متابعة طفلك من قبل فريق العلاج المتخصص.

اختبارات الدم المنتظمة

بعد العلاج بعقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) سيخضع طفلك لاختبارات دم منتظمة للوقوف على ما يلي:

- وظائف الكبد - يُمكِن إجراء هذه الاختبارات لمدة ٣ أشهر على الأقل بعد العلاج لرصد الزيادات في أنزيمات الكبد. في حالة تدهور في وظائف الكبد لطفلك أو ظهور أي علامات مرضية بعد العلاج بعقار زولجينزما سوف يقوم الطبيب المختص بتقييمها و متابعتها جيدا.
- عدد الصفائح الدَّموية ومستويات تروبونين-١- ستُجرى هذه الاختبارات لفترة من الوقت بعد العلاج لرصد التغيُّرات في الصفائح الدَّموية ومستويات تروبونين-١.

اعتماداً على نتائج اختبارات الدم و العلامات و الأعراض , قد يحتاج طفلك الى اختبارات أخرى. من الضروري المتابعة المنتظمة لاختبارات الدم الدورية و الإبلاغ الفوري عن أي علامات أو أعراض قد تبدو علي طفلك بعد العلاج بعقار زولجينزما الى الفريق الطبي المختص.

التعامل مع النفايات الجسدية لطفلك

قد يُفرَز بعض من المادة الفعَّالة الموجودة في عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك)من خلال النفايات الجسدية لطفلك 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 (أوناسمنوجين أبيبارفوفك).

ارتدِ قفازات واقية عند ملامسة سوائل (بول) جسم طفلك أو فضلاته (براز) بشكل مباشر.

اغسل يديك جيدًا بعد ذلك بالصابون والماء الجاري الدافئ أو استخدم معقم اليدين الكحولي

استخدم أكياسًا بلاستيكية مزدوجة الطبقات للتخلص من الحفاضات المتسخة وغيرها من النفايات. يظل من الممكن التخلص من الحفاضات التي تُستَخدَم لمرة واحدة مع المخلفات المنزلية.

إذا كان لديك أسئلة حول كيفية التعامل مع النفايات الجسدية لطفلك، فيُرجى التحدَّث مع طبيب طفلك أو الممرض(ة) أو الصيدلي/غيرهم من أخصائيي الرعاية الصحية.

٣. بعد العلاج

الرعاية الدَّاعمة

في حين أن عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) يوفر نسخة تعمل بكامل طاقتها من جين بقاء الخلايا العصبية الحركية، سيظل طفلك مصاب بالضمور العضلي الشوكي.

تشمل العلاجات الداعمة الإضافية المُستَخدَمة لرعاية الأشخاص الذين يعانون من الضمور العضلي الشوكي ما يلي:

علاجات العظام

العلاج الطبيعي

دعم التغذية، التي تتمثل في الأكل والشرب

دعم التنفس، بقناع النوم على سبيل المثال

الوقاية من عدوى المسالك الهوائية (على سبيل المثال: الوقاية من نزلات البرد والالتهاب الرئوي بتلقي اللقاحات)

إزالة الإفرازات من المسالك الهوائية

سيعمل معك طاقم الرعاية الصحية المتابع لطفلك لضمان تلبية احتياجات الرعاية الداعمة له.

متى تطلب العناية الطبية؟

اطلب العناية الطبية العاجلة في حال حدوث أيٍّ من الظروف التَّالية:

في بعض الأحيان قد يؤثر عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) على وظائف الكبد ويؤدي إلى حدوث إصابة في الكبد. العلامات المُحتَمَلة التي عليك البحث عنها بعد إعطاء طفلك هذا الدَّواء تشمل **القيء** أو **اليرقان** (اصفرار الجلد أو بياض العينين) أو **انخفاض الانتباه.**

قد يؤدي عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) إلى خفض أعداد الصفائح الدَّموية (نقص الصفائح الدَّموية). تحدَّث إلى طبيبك إذا لاحظت ظهور علامات مثل التعرُّض **لكدمات** أو **نزيف** لفترة أطول من المعتاد إذا تعرَّض طفلك لجرح.

قد يزيد عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) من احتمالية التعرض لخطر الإصابة بجلطات دموية غير طبيعية في الأوعية الدَّموية الدقيقة (اعتلال الأوعية الدقيقة الخثاري). أخبِر طبيبك فورًا إذا لاحظت علامات وأعراضًا مثل **سهولة التعرُّض لكدمات** أو **نوبات تشنجية** أو **انخفاض في إخراج البول.**

قد يؤدي عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) إلى ارتفاع مستويات بروتين خاص بالقلب يُسمى "تروبونين-١ وهو ما قد يدل على وجود إصابة في القلب. تحدَّث إلى طبيبك فورًا إذا رأيت علامات وأعراضًا مثل **تلوُّن الجلد بلون رمادي شاحب أو لون أزرق**، أو **صعوبة في التَّنَفُّس** (على سبيل المثال: التَّنَفُّس السريع أو ضيق التَّنَفُّس) أو **تورُّم الذراعين والساقين** أو **انتفاخ البطن.**

لضمان عدم فقدان طفلك لجرعات الكورتيكوستيرويد، أخبر طبيبك في **حال حدوث قيء قبل العلاج** بعقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) **أو بعده.**

أخبِر طبيبك فوراً إذا ظهر على طفلك علامات أو أعراض تشير إلى حدوث العدوى (على سبيل المثال: نزلة برد أو التهاب الشُّعب الهوائية) قبل العلاج بعقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) أو بعده، فربما يؤدي ذلك إلى مضاعفات أكثر خطورة قد تستدعي التدخل الطبي الطارىء. العلامات التي عليك البحث عنها هي **السعال أو أزيز الصدر أو العطس أو سيلان الأنف أو التهاب الحلق أو الحُمَّى.**

أرقام تواصل الطبيب:

سوف يتم متابعة طفلك بعد العلاج بعقار زولجينزما من قبل فريق علاج طبي متخصص. إذا كان لديك أي قلق أو ترغب فى التحدث مع طبيب طفلك أو الفريق المختص, يمكنك استخدام أرقام التواصل المدونة بالأسفل:

الأسم: .....
التخصص: .....
رقم التليفون: .....
الأيميل: .....

الأسم: .....
التخصص: .....
رقم التليفون: .....
الأيميل: .....

الأسم: .....
التخصص: .....
رقم التليفون: .....
الأيميل: .....

الأسم: .....
التخصص: .....
رقم التليفون: .....
الأيميل: .....

الأسم: .....
التخصص: .....
رقم التليفون: .....
الأيميل: .....

الكلمات الشائعة التي عليك معرفتها

الفيروس المرتبط بالفيروس الغدي ٩ (AAV9)
الفيروس المرتبط بالفيروس الغدي ٩ (AAV9) هو نوع من الفيروسات. يُمكِن تعديل الفيروس المرتبط بالفيروس الغدي ٩ بحيث لا يُسبب الأمراض لدى البشر. مع عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك)، يكون الفيروس المرتبط بالفيروس الغدي ٩ المُعَدَّل هو الناقل المُستَخدَم في توصيل النسخة التي تعمل بكامل طاقتها من جين بقاء الخلايا العصبية الحركية.

أجسام مضادة
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 القصور (التقلص). 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 في معالجة أي زيادة مُحتَمَلة في أنزيمات الكبد بعد العلاج بعقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك).

الحَمْضُ الرِّيْبِيُّ النَّوَوِي مَنْزُوع الأوكسِجين
الحمض النووي الريبي منزوع الأكسجين أو "DNA" هي المادة الوراثية لدى البشر وجميع الكائنات الحية الأخرى تقريبًا. كل خلية تقريبًا في جسم الإنسان لها نفس الحمض النووي

الجينات
هي الوحدات الأساسية للوراثة في الكائنات الحية من شأنها إخبار الجسم بكيفية صنع البروتينات. تأتي الجينات في أزواج, نسخة واحدة موروثة من كل من الوالدين

علاج جيني
العلاج الجيني هو وسيلة لعلاج أو منع تطور المرض 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 سامًّا للجسم.

مرض جيني
حالة طبية ناجمة عن جين أو جينات معيبة أو مفقودة.
الأمراض الجينية هي أمراض موروثة. الضمور العضلي الشوكي هو أحد الأمثلة على الأمراض الجينية.

التسريب الوريدي
تسريب عقار في 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.
يوجد نوعان من الخلايا العصبية الحركية: الخلايا العصبية الحركية العليا التي تحمل الإشارات من المخ إلى جذع المخ والحبل الشوكي، والخلايا العصبية السفلية التي تحمل الإشارات من الخلايا العصبية الحركية العليا إلى العضلات.

الصفائح الدموية
نوع من الخلايا المتواجدة بالدم مسئولة عن تخثر الدم.

البروتينات
البروتينات هي جزيئات مهمة تشارك في كل وظيفة في الجسم تقريبًا. تساعد البروتينات في بناء خلايا الجسم، وذلك أيضًا في حين مساعدة الخلايا على الانتقال وإنتاج المواد المهمة وإصلاحها وإبقائها على قيد الحياة

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

الضمور العضلي الشوكي
الضمور العضلي 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 البقاء.

جين SMN1
جين بقاء الخلايا العصبية الحركية ١ هو الجين الرئيسي لبقاء الخلايا العصبية الحركية، وينتج بروتين البقاء الذي تحتاج إليه الخلايا العصبية الحركية للعمل بشكل سليم. في الأشخاص المُصابين بالضمور العضلي الشوكي، تكون كلتا نسختي هذا الجين معيبتين أو مفقودتين. هذا يعني أن خلايا الجسم تكون غير قادرة على إنتاج ما يكفي من بروتين بقاء الخلايا العصبية الحركية.

جين SMN2
يعمل جين SMN2 بمثابة دعم "احتياطي" لدعم إنتاج بروتين SMN.
لا ينتج جين بقاء الخلايا العصبية الحركية ٢ سوى كميات ضئيلة من بروتين بقاء الخلايا العصبية الحركية العامل.

بروتين بقاء الخلايا العصبية الحركية
بروتين بقاء الخلايا العصبية الحركية هو عامل حيوي لعمل الخلايا العصبية الحركية بشكل سليم وبقائها على قيد الحياة. بدون وجود ما يكفي من بروتين بقاء الخلايا العصبية الحركية، تتدهور الخلايا العصبية الحركية وتتوقف عن العمل. ينتج الجسم بروتين بقاء الخلايا العصبية الحركية من جين بقاء الخلايا العصبية الحركية.

ملاحظات

ملاحظات

يمكنك الابلاغ عن أي أعراض جانبية أو شكاوى أو لطلب نسخ اضافية من خلال:

شركة نوفارتس - السعودية - قسم سلامة المرضى:

الرقم المجاني: ٨٠٠١٢٤٠٠٧٨

الهاتف: ٠٠٩٦٦١١٢٦٥٨١٠٠

الفاكس: ٠٠٩٦٦١١٢٦٥٨١٠٧

الايميل: adverse.events@novartis.com

أو عن طريق الإنترنت: https://www.report.novartis.com/ar

الهيئة العامة للغذاء والدواء، المركز الوطني للتيقظ الدوائي:

مركز الاتصال الموحد: ١٩٩٩٩

الفاكس: ٠٠٩٦٦١١٢٠٥٧٦٦٢

الايميل: npc.drug@sfda.gov.sa

أو عن طريق الإنترنت: https://ade.sfda.gov.sa/

تتوفر معلومات مفصلة عن هذا الدواء على موقع نظام معلومات الأدوية السعودي:
https://sdi.sfda.gov.sa/Home/Result?drugId=11671

المعلومات المقدمة للأغراض التعليمية فقط وليس الغرض منها أن تحل محل المناقشات مع طبيبك أو فريق الرعاية الخاص بك.
ويقصد بها معلومات عامة تتعلق بمرض ضمور العضلات الشوكي.

امسح الكود
نشرة معلومات المريض
(PIL)

Zolgensma EU RMP V 2.2 May 2023

حقوق الطبع والنشر لعام ٢٠٢٣ محفوظة لشركة نوفارتس جين ثيرابيز. جميع الحقوق محفوظة.

zolgensma® ▼
(onasemnogene abeparvovec)

NOVARTIS