

Tiesioginis kreipimasis į sveikatos priežiūros specialistus

Novartis, 2023 m. vasario 9 d.

Onasemnogenas abeparvovekas (ZOLGENSMA®) – nustatyta mirtį lėmusių ūminio kepenų nepakankamumo atvejų

Gerbiamas sveikatos priežiūros specialiste,

Novartis bendrovė, suderinusi su Europos vaistų agentūra ir Valstybine vaistų kontrolės tarnyba prie Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministerijos (VVKT), norėtų Jus informuoti apie toliau nurodytus duomenis.

Santrauka

- **Onasemnogenu abeparvoveku gydytiems pacientams buvo nustatyta mirtį lėmusių ūminio kepenų nepakankamumo atvejų.**
- **Prieš pradėdant gydymą ir reguliariais intervalais mažiausiai 3 mėnesius po vaistinio preparato infuzijos reikia tirti kepenų funkciją.**
- **Pacientų, kuriems blogėja kepenų funkcijos tyrimų rodmenys ir (arba) pasireiškia ūminės ligos požymių ar simptomų, būklę reikia nedelsiant iširti.**
- **Jeigu pacientas tinkamai nereaguoja į gydymą kortikosteroidais, pacientą reikia nusiųsti vaikų gastroenterologo ar kepenų ligų specialisto konsultacijai bei apvarstyti gydymo kortikosteroidais koregavimo poreikį.**
- **Nereikėtų pradėti mažinti kortikosteroidų dozės, kol kepenų funkcijos tyrimų rodmenys nebus normalizavęsi (paciento klinikinės būklės vertinimas bus normalus, bendrojo bilirubino kiekis bus sugrįžęs iki normalių reikšmių, oALT ir AST aktyvumo rodmenys bus sumažėję iki mažesnių kaip dvigubos viršutinės normos ribos).**
- **Informuokite paciento globėjus apie sunkios kepenų pažaidos pasireiškimo riziką ir būtinybę reguliariai tirti kepenų funkciją.**

Saugumo pranešimo pagrindimas

Zolgensma (onasemnogenas abeparvovekas) skirtas spinaline raumenų atrofija (SRA) sergančių pacientų gydymui. Iki šiol vaistinio preparato buvo skirta maždaug 3 000 pacientų.

Onasemnogeno abeparvoveko sukiamas toksinis poveikis kepenims dažnai pasireiškia pakitusia kepenų funkcija, pavyzdžiui, padidėjęs aminotransferazių (AST, ALT) aktyvumas. Tačiau nustatyta ir ūminės sunkios kepenų pažaidos bei ūminio kepenų nepakankamo atvejų, įskaitant mirtį lėmusius atvejus.

Toksinio poveikio kepenims pasireiškimo mechanizmas, tikėtina, yra susijęs su įgimtu ir (arba) adaptyviu imuniniu atsaku į vektorių. Todėl rekomenduojama skirti profilaktinį gydymą

kortikosteroidais bei tirti kepenų funkciją prieš pradėdant gydymą ir reguliariais intervalais mažiausiai 3 mėnesius po onasemnogeno abeparovoko infuzijos. Kepenų funkcijos tyrimus reikia atlikti kas savaitę pirmąjį mėnesį ir visu kortikosteroido dozės mažinimo laikotarpiu iki nutraukimo, o vėliau kas dvi savaites kitą mėnesį ir kitu metu, jei kliniškai reikalinga.

Pacientų, kuriems pasireiškia kepenų funkcijos sutrikimo požymių ar simptomų, būklę reikia nedelsiant iširti ir įvertinti kepenų pažeidimą. Jeigu pacientas tinkamai nereaguoja į gydymą kortikosteroidais, pacientą reikia nusiųsti vaikų gastroenterologo ar kepenų ligų specialisto konsultacijai. Siekiant suvaldyti toksinį poveikį kepenims, reikia apsvarstyti galimybę koreguoti gydymą kortikosteroidais, įskaitant kortikosteroido dozės didinimą, ilgesnį vartojimą ar ilgesnį dozės mažinimo laikotarpį.

Neseniai buvo pranešta apie du mirtį lėmusius ūminio kepenų nepakankamumo atvejus SRA sirgusiems pacientams, kuriems buvo skirtas gydymas onasemnogenu abeparovoku. Šie pacientai buvo atitinkamai 4 ir 28 mėnesių amžiaus. Toliau apibendrintos klinikinės šių dviejų atvejų charakteristikos:

- Pradinis kepenų pažeidimo pasireiškimas buvo besimptomis kepenų aminotransferazių aktyvumo padidėjimas, kuris pasireiškė per pirmąsias 1-2 savaites po onasemnogeno abeparovoko infuzijos ir kuris buvo gydomas padidinus prednizolono dozę.
- Klinikiniai toksinio poveikio kepenims požymiai buvo vėmimas, bendras silpnumas ir antrasis kepenų aminotransferazių aktyvumo padidėjimas. Tai buvo nustatyta praėjus 5-6 savaitėms po onasemnogeno abeparovoko infuzijos ir maždaug po 1-2 savaičių nuo prednizolono dozės mažinimo pradžios.
- Vėliau nustatytas greitas kepenų funkcijos blogėjimas, būklės progresavimas iki hepatinės encefalopatijos ir dauginio organų nepakankamumo. Pacientai mirė praėjus 6-7 savaitėms po onasemnogeno abeparovoko infuzijos kortikosteroidų dozės mažinimo laikotarpio metu.

Onasemnogeno abeparovoko informaciniai dokumentai šiuo metu atnaujinami siekiant įtraukti anksčiau pateiktus duomenis.

Raginimas teikti pranešimus

Prašytume pranešimus apie visas įtariamas nepageidaujamas reakcijas, susijusias su onasemnogeno abeparovoko vartojimu, teikti vadovaujantis nacionaliniais reikalavimais ir naudojantis nacionaline pranešimų sistema:

Apie nepageidaujamą reakciją į vaistą galima pranešti šiais būdais:

1. Tiesiogiai internetu, prisijungus <https://vapris.vvkt.lt/vvkt-web/public/nrvSpecialist> ir užpildant formą. Pranešimo forma skelbiama <https://www.vvkt.lt/index.php?1399030386>
2. Užpildant pranešimo formą, skirtą specialistams, ir atsiunčiant ją:
 - el. paštu NepageidaujamaR@vvkt.lt;
 - paštu, adresu Valstybinė vaistų kontrolės tarnyba, Studentų g. 45A, 08107 Vilnius;

Siekiant pagerinti biologinių vaistinių preparatų atsekamumą, reikia aiškiai užrašyti paskirto vaistinio preparato pavadinimą ir serijos numerį.

▼Vykdoma papildoma Zolgensma stebėseną. Tai padės greitai nustatyti naują saugumo informaciją. Sveikatos priežiūros specialistai turi kuo greičiau pranešti apie bet kokias įtariamas nepageidaujamas reakcijas.

Bendrovės kontaktiniai duomenys

SIA Novartis Baltics Lietuvos filialas

Upės g. 19, 08128 Vilnius

Tel. +370 5 2691650

Pagarbiai,

Gerda Viliūnė

Neurologijos frančizės medicinos vadovė Baltijos šalims