

Vēstule veselības aprūpes speciālistam

2021. gada 18. marts.

Zolgensma (onasemnogēna abeparvoveks): trombotiskas mikroangiopātijas risks

Cien. veselības aprūpes speciālist!

Novartis Gene Therapies EU Limited sadarbībā ar Eiropas Zāļu aģentūru un Latvijas Zāļu valsts aģentūru vēlas Jūs informēt par trombotiskas mikroangiopātijas (TMA) risku pēc Zolgensma (onasemnogēna abeparvoveka) terapijas.

Kopsavilkums

- Ir ziņots par trombotiskas mikroangiopātijas (TMA) veidošanos ar onasemnogēna abeparvoveku ārstētiem spinālās muskuļu atrofijas (SMA) pacientiem, īpaši pirmajās nedēļās pēc terapijas.
- TMA ir akūts un dzīvībai bīstams stāvoklis, kam raksturīga trombocitopēnija, hemolītiska anēmija un akūts nieru bojājums.
- Šobrīd pirms onasemnogēna abeparvoveka lietošanas nepieciešamas arī kreatinīna un pilnas asinsainas (ieskaitot hemoglobīna un trombocītu skaita noteikšanu) analīzes – papildus jau līdz šim rekomendētajiem laboratoriskajiem izmeklējumiem pirms ārstēšanas ar onasemnogēna abeparvoveku uzsākšanas.
- Pirmajā nedēļā pēc infūzijas rūpīgi jānovēro trombocītu skaits. Pēc tam tas regulāri jāpārbauda. Trombocitopēnijas gadījumā jāveic papildu izmeklējumi, ieskaitot izmeklējumus hemolītiskās anēmijas un nieru disfunkcijas diagnosticēšanai.
- Ja pacientiem rodas TMA pazīmes vai simptomi vai arī laboratorisko izmeklējumu atrades liecina par TMA, jāvēršas pie speciālista un vairāku nozaru speciālistu konsultācijas un nekavējoties atbilstoši klīniskajām indikācijām jākontrolē TMA.
- Aprūpētāji jāinformē par TMA pazīmēm un simptomiem (piem., zilumiem, krampjiem, oligūriju), un jāiesaka simptomu rašanās gadījumā vērsties pēc neatliekamās medicīniskās palīdzības.

Drošuma apsvērumu pamatojums

Zolgensma (onasemnogēna abeparvoveks) ir indicēts spinālās muskuļu atrofijas (SMA) ārstēšanai. Kopējā kumulatīvā ekspozīcija līdz šim ir aptuveni 800 pacientu.

TMA attiecas uz daudzveidīgu saslimšanu grupu, kurā ietilpst hemolītiski urēmiskais sindroms (HUS) un trombotiska trombocitopēniskā purpura (TTP). Kopumā tiek aprēķināts, ka TMA sastopamība bērniem ir tikai daži gadījumi no miljona gadā.

TMA diagnosticē, balstoties trombocitopēnijas, hemolītiskas anēmijas un akūta nieru bojājuma atradēs, un tā veidojas komplementa sistēmas regulācijas traucējumu un/vai pārmērīgas alternatīvas aktivēšanās rezultātā. Tās etioloģija var būt ģenētiska vai iegūta. TMA ir ārstējama, un to var novērst savlaicīgi un atbilstoši iejaucoties. Ir svarīgi uzlabot informētību par TMA varbūtību pacientiem, kuri saņem onasemnogēna abeparvoveku.

Kopumā līdz šim ir ziņots par pieciem apstiprinātiem TMA gadījumiem 4-23 mēnešus veciem pacientiem pēc onasemnogēna abeparoveka terapijas – no apmēram astoņiem simptiem šādu terapiju saņēmušajiem pacientiem.

Šajos piecos gadījumos TMA attīstījās 6-11 dienās pēc onasemnogēna abeparoveka infūzijas. Pazīmes ietvēra vemšanu, hipotensiju, oligūriju/anūriju un/vai tūsku. Laboratoriskie izmeklējumi norādīja uz trombocitopēniju, paaugstinātu kreatinīna līmeni serumā, proteīnūriju un/vai hematūriju un hemolītisku anēmiju (samazināts hemoglobīna daudzums ar šistocitozi perifēro asiņu uztriepē). Diviem no pacientiem bija arī infekcijas, un abi bija nesen (2-3 nedēļas pēc onasemnogēna abeparoveka lietošanas) vakcinēti. Informācija par vakcināciju plānošanu Zolgensma lietošanas gadījumā sniegta zāļu aprakstā.

Akūtā fāzē visi pacienti labi reaģēja uz medicīnisko iejaukšanos, tostarp plazmaferēzi, sistēmiskiem kortikosteroīdiem, transfūzijām un atbalsta terapiju. Diviem pacientiem tika veikta nieru aizstājējterapija (hemodialīze vai hemofiltrācija). Diemžēl viens pacients, kuram bija nepieciešama nieru aizstājējterapija (hemofiltrācija), 6 nedēļas pēc notikuma nomira.

Onasemnogēna abeparoveka zāļu apraksts tiks atjaunināts, lai atspoguļotu TMA risku un lai sniegtu norādi veikt novērošanu, lai laikus atpazītu TMA, kā arī ieteiktu informēt aprūpētājus par nepieciešamību TMA pazīmju un simptomu gadījumā vērsties pēc neatliekamas medicīniskās palīdzības.

Ziņošana par blakusparādībām

Atgādinām, ka saskaņā ar zāļu blakusparādību ziņošanas noteikumiem ārstniecības personām un farmaceitiem jāziņo par novērotām iespējamām zāļu blaknēm Zāļu valsts aģentūrai (ZVA) elektroniski ZVA mājaslapā www.zva.gov.lv, klikšķinot uz izvēlnes “Ziņot par zāļu blaknēm, negadījumiem ar ierīcēm, biovigilanci” un izvēloties “Ziņo par zāļu blaknēm”, un “Ārstniecības personas, farmaceita ziņojuma veidlapa”. Papildinformācijas nepieciešamības gadījumā jāsazinās ar ZVA pa tālr.: 67078438. Lai uzlabotu bioloģisko zāļu izsekojamību, ir skaidri jāreģistrē lietoto zāļu nosaukums un sērijas numurs.

▼ Zālēm Zolgensma tiek piemērota papildu uzraudzība. Tādējādi būs iespējams ātri identificēt jaunāko informāciju par šo zāļu drošumu. Veselības aprūpes speciālisti tiek lūgti iespējami drīz ziņot par jebkādam iespējamām nevēlamām blakusparādībām.

Par Zolgensma iespējamām izraisītām zāļu blakusparādībām lūdzam ziņot SIA Novartis Baltics uz tālruni 67887070 vai e-pastu: drugsafety.latvia@novartis.com

Uzņēmuma kontaktinformācija

Lai saņemtu papildu informāciju par šīm zālēm, lūdzam sazināties ar reģistrācijas apliecības īpašnieka vietējo pārstāvniecību:

SIA Novartis Baltics, Gustava Zemgala gatve 76, 3.stāvs, Rīga, LV 1039, tālr.: 67 887 070; e-pasts info.latvia@novartis.com

Ar cieņu,

Pēteris Melbārdis

Medicīniskās komunikācijas speciālists

SIA Novartis Baltics

