

Pflichtangaben ZOLGENSMA Stand Mai 2021

▼Dieses Arzneimittel unterliegt einer zusätzlichen Überwachung. Dies ermöglicht eine schnelle Identifizierung neuer Erkenntnisse über die Sicherheit. Angehörige von Gesundheitsberufen sind aufgefordert, jeden Verdachtsfall einer Nebenwirkung dem Paul-Ehrlich-Institut, Bundesinstitut für Impfstoffe und biomedizinische Arzneimittel. Tel: +49 6103 77 0; Fax: +49 6103 77 1234; online: <https://www.pei.de>, zu melden. Verdachtsfälle von Nebenwirkungen können auch an Novartis gemeldet werden: E-Mail: ams.novartis@novartis.com.

Weitere Informationen entnehmen Sie bitte der Fachinformation von ZOLGENSMA 2 x 10¹³ Vektorgenome/ml Infusionslösung.

ZOLGENSMA 2 x 10¹³ Vektorgenome/ml Infusionslösung

QUALITATIVE UND QUANTITATIVE ZUSAMMENSETZUNG: Allgem. Beschreibung: Onasemnogen-Abeprarvec ist ein Gentherapeutikum, d. d. humane Survival-Motoneuron-(SMN) Protein exprimiert. Es handelt sich um einen nicht replizierenden rekombinanten adeno-assoziierten Vektor auf d. Basis d. Virus-Serotyps 9 (AAV9), d. d. cDNA des humanen SMN-Gens unter d. Kontrolle des Cytomegalievirus-Enhancers/Hühner-β-Aktin-Hybrid-Promotors enthält. Onasemnogen-Abeprarvec wird durch DNS-Rekombinationstechnologie in menschlichen embryonalen Nierenzellen gebildet. **Zusammensetzung:** Jeder ml enthält Onasemnogen-Abeprarvec mit einer nominalen Konzentration von 2 × 10¹³ Vektorgenomen (vg). Die Durchstechflaschen enthalten ein extrahierbares Volumen von mind. 5,5 ml bzw. 8,3 ml. Die Gesamtzahl der Durchstechflaschen u. d. Kombination d. Füllvolumina in einer Fertigpackung werden in Abhängigkeit vom Körpergewicht an d. Dosieranforderungen d. einzelnen Patienten angepasst. **Sonst. Bestandteile:** Tromethamin, Magnesiumchlorid, Natriumchlorid, Poloxamer 188, Salzsäure (zur pH-Einstellung), Wasser f. Injektionszwecke. **ANWENDUNGSGEBIETE:** Behandl. v. Patienten mit 5q-assoziierte spinale Muskelatrophie (SMA) mit einer biallelischen Mutation im *SMN1*-Gen u. einer klinisch diagnostizierten Typ-1-SMA, o. Patienten mit 5q-assoziierte SMA mit einer biallelischen Mutation im *SMN1*-Gen u. bis zu 3 Kopien des *SMN2*-Gens. **GEGENANZEIGEN:** Überempf. geg. d. Wirkstoff o. einen der sonst. Bestandteile. **NEBENWIRKUNGEN:** *Sehr häufig:* Leberenzyme erhöht. *Häufig:* Thrombozytopenie; Erbrechen; Lebertoxizität; Fieber; Troponin-I erhöht; Troponin-T erhöht; Thrombozytenzahl verringert. *Häufigkeit nicht bekannt:* Akutes Leberversagen; Akute Leberschädigung; Thrombotische Mikroangiopathie. **STAND D. INFORMATION:** Mai 2021. **INHABER D. ZULASSUNG:** Novartis Gene Therapies EU Ltd, Block B, The Crescent Building, Northwood, Santry, Dublin 9, D09 C6X8, Irland. **VERSCHREIBUNGSPFLICHTIG.**