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 الكتيب لأن طفلك قد وُصِف له عقار زولجينزما® (▼) (أوناسمنوجين أبيبارفوفك).
يهدف هذا الكتيب 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

دليل معلومات عقار زولجينزما المُوَجَّه لمقدمي الرعاية، الإصدار رقم 1 المؤرخ في نوفمبر 2021، للتَّوزيع في MAP/EAR

السيد(ة) الوالد(ة) أو مقدم الرعاية أو فرد الأسرة

شكرًا لك على أخذ الوقت لقراءة هذا الدليل. لقد أُعطي لك هذا الدليل لأنه قد جرى تشخيص طفلك بالإصابة بالضمور العضلي الشوكي ووصف له الطبيب عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك)

قد تحتاج إلى الرجوع إلى هذه المعلومات مرة أخرى، لذا يُرجى الاحتفاظ بنسخة من هذا الدليل

تم إعداد هذا الدليل لتقديم معلومات مفيدة حول ما يلي:

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

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.

نتمنى لك ولعائلتك كل التوفيق

جهات اتصال لتقديم المساعدة

ما هي محتويات هذا الدليل؟

معلومات حول مرض الضمور العضلي الشوكي ٤
- ماذا يُقصَد بالضمور العضلي الشوكي؟
- ما هي مسببات الضمور العضلي الشوكي؟
- مَن الذي يُصاب بالضمور العضلي الشوكي؟
- شدة الضمور العضلي الشوكي وأعراضه

معلومات حول عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) ١٢
تعرَّف على عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) وكيفية عمله

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

العلاج بعقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) ١٩
- قبل العلاج
- يوم العلاج
- بعد العلاج

متى تطلب العناية الطبية؟ ٢٩

الكلمات الشائعة التي عليك معرفتها ٣٠
يمكنك إيجاد تعريفات مفيدة للمصطلحات المُستَخدَمة في هذا الكتيب

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 (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 غير المصابين

المخ

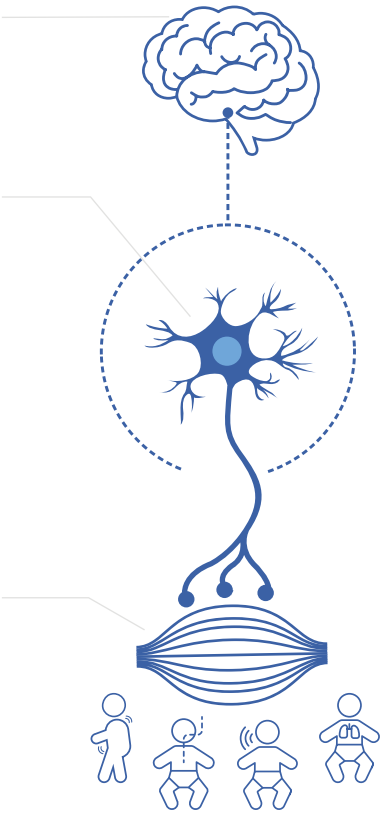
في الأشخاص غير المصابين، تنشأ إشارات لحركة العضلات.

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.



الضمور العضلي الشوكي، بقاء الخلايا العصبية الحركية.

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 غير المصابين

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 غير المصابين، 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***:

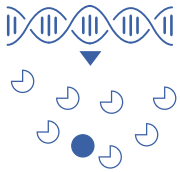
بقاء الخلايا العصبية الحركية ١ *(SMN1)*

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

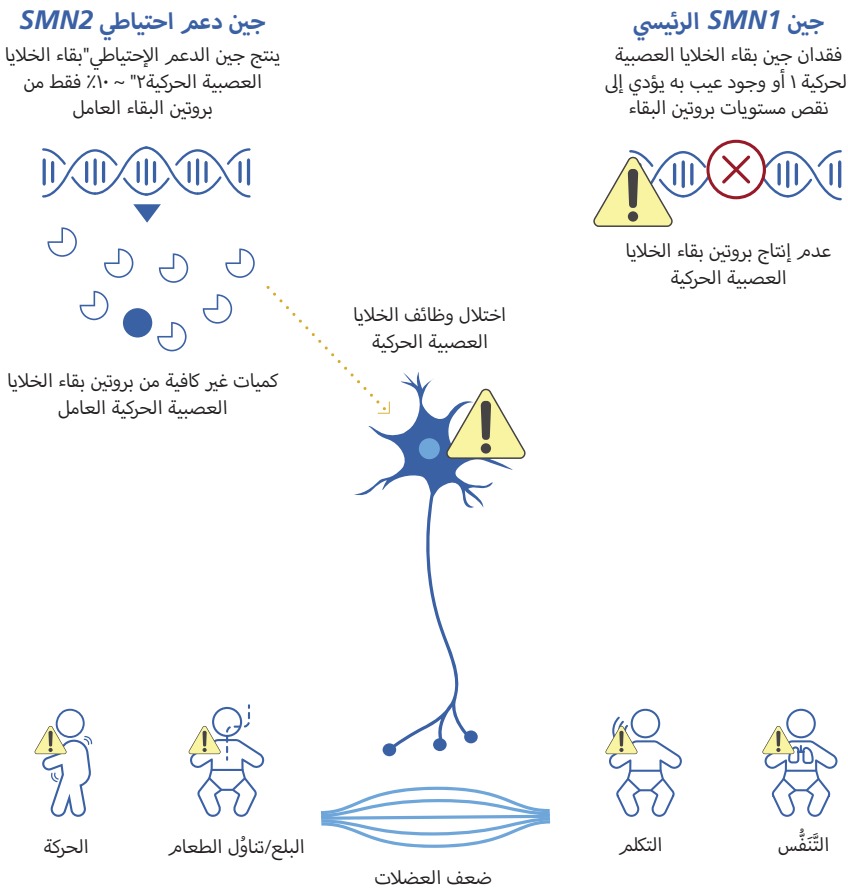


كميات غير كافية من بروتين بقاء الخلايا العصبية الحركية العامل

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.



الضمور العضلي الشوكي، بقاء الخلايا العصبية الحركية.

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

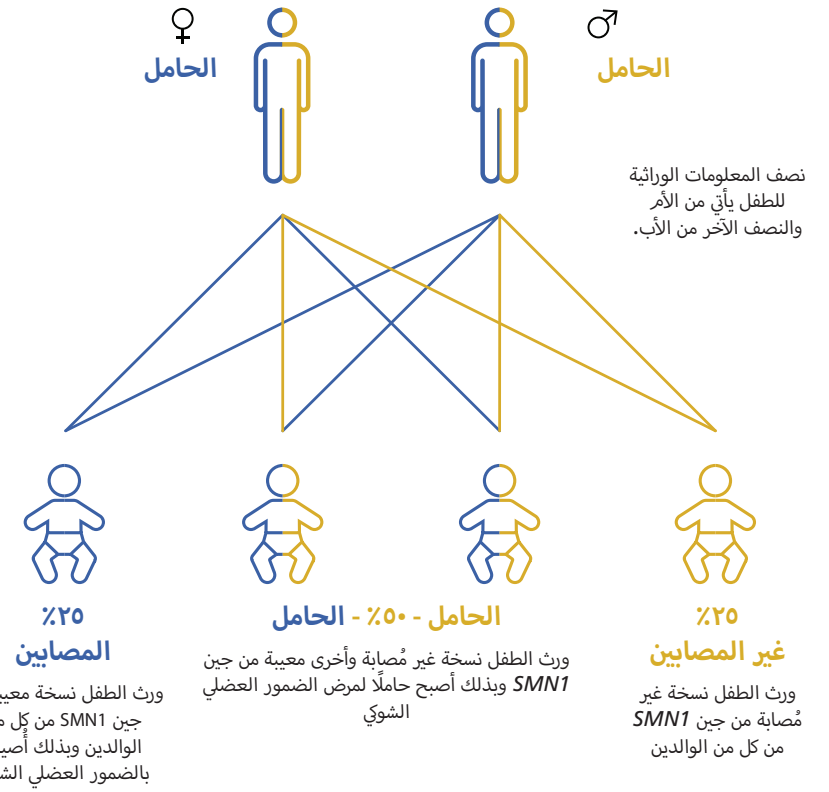
يوجد **نحو شخص واحد من كل ٥٠ شخصًا** حامل لمرض الضمور العضلي الشوكي، ولو أن هذا سيتباين قليلًا حسب موقعك الجغرافي

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 كلا الوالدين يجب أن يكونا حاملين لفرصة بنسبة ٢٥٪ في توريث المَرض



غير مصاب　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

في الماضي، كان الأطفال الذين يعانون من أشكال أكثر شدة من الضمور العضلي الشوكي والذين لم يتلقوا العلاج أو الدعم بالتنفس الصناعي لديهم مدى عمري أقصر. مع ذلك، مع التدخل الطبي والعلاج المبكر، يُمكِن إبطاء تدهور الحالة، حيث يكون الأطفال في كثير من الأحيان قادرين على الوصول إلى معالم نادرًا ما تُرصَد أثناء المسار الطبيعي للمرض.

الضمور العضلي الشوكي، بقاء الخلايا العصبية الحركية.

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

أنواع الضمور العضلي الشوكي	الأعراض
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.
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
القدرة على الجلوس وربما الوقوف بشكل مستقل، وعدم القدرة على المشي بشكل مستقل (الضمور العضلي الشوكي، النوع ٢)	**تظهر الأعراض عادةً بين سن ٦ و١٨ شهرًا 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
المشي المستقل (الضمور العضلي الشوكي، النوع ٣)	تحدث الأعراض عادةً منذ مراحل مبكرة من الطفولة (< ١٨ 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.

دليل معلومات عقار زولجينزما المُوَجَّه لمقدمي الرعاية، الإصدار رقم 1 المؤرخ في نوفمبر 2021، للتَّوزيع في MAP/EAR

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"

ما هو عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) ؟

عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) هو نوع من الأدوية التي تُسمى "العلاجات الجينية". يحتوي العقار على المادة الفعَّالة أوناسمنوجين أبيبارفوفك التي تحتوي على مادة جينية بشرية.

زولجينزما هو علاج جيني يعتمد على الفيروس المرتبط بالفيروس الغدي كناقل بيولوجي، يستخدم في الأطفال الذين تقل أعمارهم عن سنتين والذين يعانون من ضمور العضلات الشوكي (SMA) مع طفرات ثنائية الأليلات في الجين العصبي الحركي ١ (SMN1)

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".

يُصنَع الناقل الذي يوصل جين بقاء الخلايا العصبية الحركية من فيروس مُعَدَّل يُسمى الفيروس المرتبط بالفيروس الغدي ٩ أو (AAV9). هذا النوع من الفيروسات لا يُسبب الأمراض لدى البشر. لتصنيع الناقل، يُزال معظم الحمض النووي الريبي منزوع الأكسجين للفيروس ويوضع بداخله جين بقاء الخلايا العصبية الحركية الجديد.

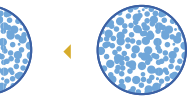
الفيروس المرتبط بالفيروس الغدي، الحمض النووي الريبي منزوع الأكسجين الضمور العضلي الشوكي، بقاء الخلايا العصبية الحركية.

١

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

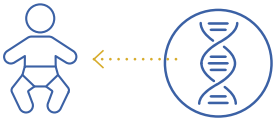
٢

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



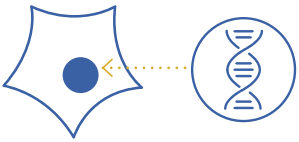
٣

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) فعَّالًا 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"

للمساعدة في اتخاذ قرار بشأن هل عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) مناسب لطفلك أم لا، سيُجري طبيب طفلك فحوصات للأجسام المضادة قبل العلاج.

مشاكل الكبد

قبل إعطاء طفلك هذا الدَّواء، أخبر الطاقم الطبي المتابع له في حال كان طفلك مُصابًا أو أُصيب من قبل بأية مشاكل في الكبد. يُمكِن أن يسبب عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) استجابةً مناعيةً قد تؤدي إلى زيادة في الأنزيمات (البروتينات الموجودة داخل الجسم) التي ينتجها الكبد أو إصابة في الكبد. العلامات المُحتَمَلة التي عليك البحث عنها بعد إعطاء طفلك هذا الدَّواء تشمل القيء واليرقان (اصفرار الجلد أو بياض العينين) أو انخفاض الإنتباه.

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). قد تؤثر هذه الجلطات الدموية على كُليتي طفلك. أخبِر طبيبك فورًا إذا لاحظت علامات وأعراض مثل سهولة التعرُّض لكدمات أو نوبات تشنجية أو انخفاض في إخراج البول

انخفاض تعداد الصَّفائح الدَّموية

قد يؤدي عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) إلى خفض تعداد الصفائح الدَّموية (نقص الصفائح الدَّموية)، الأمر الذي قد يؤدي أيضًا إلى تشكُّل جلطات دموية غير طبيعية. 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

تروبونين-١

يُمكِن أن يؤدي عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) إلى رفع مستويات بروتين من بروتينات القلب يُسمى تروبونين-١ وهو 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). في الأسابيع التَّالية للعلاج، سيخضع طفلك لاختبارات دم منتظمة لفحص وظائف الكبد ومراقبة حالة الطفل تحسبًا لحدوث تغيُّرات في الصفائح الدَّموية ومستويات تروبونين-١. سيقرر طبيب طفلك فترة إجراء الاختبارات.

لا تتردد في التحدُّث إلى الطاقم الطبي لطفلك إذا كان لديك أيَّة أسئلة.

فهم مخاطر عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك)

(يتبع)

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

الحساسية

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

تناوُل أدوية أخرى مع عقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك)

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

اللقاحات

نظرًا إلى أن الكورتيكوستيرويدات يُمكِن أن تؤثر على الجهاز المناعي للجسم، فقد يقرر طبيب طفلك تأخير إعطاء بعض اللقاحات لطفلك أثناء تلقيه للعلاج بالكورتيكوستيرويدات. تحدَّث مع طبيب طفلك أو الممرض(ة) أو الصيدلي/غيرهم من أخصائيي الرعاية الصحية إذا كان لديك أيَّة أسئلة.

العدوى

إذا أُصيب طفلك بعدوى (على سبيل المثال: نزلة برد أو التهاب الشُّعب الهوائية) قبل العلاج بعقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) أو بعده، فربما يؤدي ذلك إلى مضاعفات أكثر خطورة.

يجب أن تخبر طبيب طفلك فورًا إذا لاحظت أن طفلك أُصيب بأيٍّ من الأعراض التَّالية:

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

الكورتيكوستيرويدات

ستُعطى لطفلك الكورتيكوستيرويدات (بريدنيزولون أو ما يكافئه) لفترة من الزمن قبل العلاج بعقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) وبعده. ستساعد الكورتيكوستيرويدات على معالجة أي زيادة مُحتَمَلة في أنزيمات الكبد قد يتعرَّض لها طفلك بعد الاستجابة المناعية لعقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) . سيحدد طبيب طفلك جرعة الكورتيكوستيرويد التي يتلقاها طفلك وفقًا لوزن الطفل. إذا كان لديك أيَّة أسئلة بشأن الكورتيكوستيرويدات، فتحدَّث إلى طبيب طفلك أو الممرض(ة) أو الصيدلي/غيرهم من أخصائيي الرعاية الصحية.

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)
- **قيء** أو **يرقان** (اصفرار الجلد أو بياض العينين) أو **انخفاض الانتباه** - قد تكون هذه علامات تشير إلى احتمالية وجود مشاكل 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.**
- **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

دليل معلومات عقار زولجينزما المُوَجَّه لمقدمي الرعاية، الإصدار رقم 1 المؤرخ في نوفمبر 2021، للتَّوزيع في MAP/EAR

١. قبل العلاج

اختبار الأجسام المضادة للفيروس المرتبط بالفيروس الغدي

ينتج الجهاز المناعي للجسم أجسام مضادة للمساعدة في حمايته من الأمراض. يُمكِن أن يؤدي وجود أجسام مضادة معينة، تُسمى الأجسام المضادة للفيروس المرتبط بالفيروس الغدي، 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 الغدي، وهو ما يكون غالبًا نتيجة انتقال أجسام مضادة من الأم إلى الطفل أثناء الحَمْل. ستنخفض هذه الارتفاعات غالبًا بمرور الوقت بعد الولادة. إذا كان لدى طفلك ارتفاعات في مستويات أجسام مضادة للفيروس المرتبط بالفيروس الغدي بعد خضوعه للاختبار الأول، فسيكون مؤهلًا 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 (البريدنيزلون أو ما يُكافئه) 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 المُهِم أن تُبلِغ طبيب طفلك أو الممرض(ة) أو الصيدلي/غيرهم من أخصائيي الرعاية الصحية فورًا إذا أُصيب طفلك بأعراض عدوى.
إذا أُصيب طفلك بأعراض قبل العلاج بعقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك)، فقد يستلزم الأمر تأخير عملية التَّسريب حتى تزول العدوى. إذا أُصيب طفلك بأعراض بعد العلاج بعقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك)، فقد يؤدي ذلك إلى مضاعفات طبية.
انظر صفحة ١٧ للاطلاع على علامات العدوى المُحتَمَلة

٢. يوم العلاج

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

بريدنيزولون

قبل ٢٤ ساعة من العلاج بعقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك)، ستكون قد أُعطيت الجرعة الأولى من الكورتيكوستيرويدات (بريدنيزولون أو ما يكافئه) لطفلك. انظر صفحة ٢١ للاطلاع على معلومات حول جرعات الكورتيكوستيروييد قبل العلاج بعقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك).

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

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.

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 بأيٍّ من الآثار الجانبية الخطيرة 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)
- **قيء** أو **يرقان** (اصفرار الجلد أو بياض العينين) أو **انخفاض اليقظة** - قد تكون هذه علامات تشير إلى احتمالية وجود مشاكل 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.**
- **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، فتحدَّث إلى طبيبه أو الممرض(ة) أو الصيدلي/غيرهم من أخصائي 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.

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).

اختبارات الدَّم 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
- عدد الصفائح الدَّموية ومستويات تروبونين-١ - ستُجرى هذه الاختبارات لفترة من الوقت بعد العلاج لرصد التغيُّرات في الصفائح الدَّموية ومستويات تروبونين-١.

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 جسم طفلك أو فضلاته 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.

الضمور العضلي الشوكي، بقاء الخلايا العصبية الحركية.

متى تطلب العناية الطبية؟

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

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 (بريدنيزولون أو ما يكافئه)، أخبر طبيبك في **حال حدوث قيء قبل العلاج** بعقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك) **أو بعده.**

أخبِر طبيبك فورًا إذا ظهر على طفلك علامات 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. العلامات التي عليك البحث عنها هي **السعال أو أزيز الصدر أو العطس أو سيلان الأنف أو التهاب الحلق أو الحُمَّى.**

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 الأوكسِجِين
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
مجموعات من التعليمات 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.

بريدنيزولون
بريدنيزولون هو نوع من الأدوية تُسمى الكورتيكوستيرويدات، وهو يساعد في معالجة أي زيادة مُحتَمَلة في أنزيمات الكبد بعد العلاج بعقار زولجينزما (أوناسمنوجين أبيبارفوفك).

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.

جهات اتصال لتقديم المساعدة

تولت شركة نوفارتس للعلاجات الجينية إعداد هذه النَّشرة. المعلومات المقدمة للأغراض التَّثقيفية فقط وليس الغرض منها أن تحل محل المناقشات مع طبيبك أو طاقم الرعاية المتابع لحالتك. المعلومات الواردة هي معلومات ذات صلة بالضمور العضلي الشوكي ويُقصَد بها أن تكون بمثابة نظرة عامة على المرض

دليل معلومات عقار زولجينزما المُوَجَّه لمقدمي الرعاية، الإصدار رقم ١ المؤرخ في نوفمبر ٢٠٢١، للتَّوزيع في MAP/EAR

حقوق الطبع والنشر لعام 2021 محفوظة لشركة نوفارتس جين ثيرابيز. جميع الحقوق محفوظة.

zolgensma®

(onasemnogene abeparvovec)

NOVARTIS

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/