



Министерство здравоохранения
Российской Федерации

**ФЕДЕРАЛЬНАЯ СЛУЖБА ПО НАДЗОРУ
В СФЕРЕ ЗДРАВООХРАНЕНИЯ
(РОСЗДРАВНАДЗОР)**

РУКОВОДИТЕЛЬ

Славянская пл. 4, стр. 1, Москва, 109074
Телефон: (495) 698 45 38; (495) 698 15 74

16 MAR 2021 № 014 - 327/21

На № _____ от _____

О новых данных по безопасности
лекарственного препарата
Золгенсма (МНН – онасемноген
абепарвовек)



2418890

Субъекты обращения
лекарственных средств

Федеральная служба по надзору в сфере здравоохранения в рамках исполнения государственной функции по организации и проведению фармаконадзора доводит до сведения субъектов обращения лекарственных средств и специалистов в области здравоохранения письмо ООО «Новартис Фарма» о новых данных по безопасности лекарственного препарата Золгенсма (онасемноген абепарвовек).

Приложение: на 3 л. в 1 экз.

А.В. Самойлова

Уважаемый медицинский работник!

Компания Новартис выражает Вам свое почтение и информирует Вас о риске возникновения тромботической микроангиопатии (ТМА) после применения препарата Золгенсма (онасемноген абепарвовек).

Резюме

- У пациентов со спинальной мышечной атрофией (СМА), получавших онасемноген абепарвовек, отмечались случаи развития тромботической микроангиопатии (ТМА), особенно в первые недели после применения препарата.
- ТМА — острое и угрожающее жизни состояние, которое характеризуется тромбоцитопенией, гемолитической анемией и остро возникшим поражением почек.
- В настоящее время перед введением онасемногена абепарвовек в дополнение к уже рекомендованным исходным лабораторным исследованиям, требуется измерять уровень креатинина сыворотки крови и проводить клинический анализ крови (с определением уровня гемоглобина и числа тромбоцитов).
- В течение первой недели после инфузии необходимо строго контролировать число тромбоцитов, впоследствии данный показатель требуется определять регулярно. В случае развития тромбоцитопении необходимо провести дополнительные исследования, включающие диагностические показатели гемолитической анемии и нарушения функции почек.
- Если у пациента имеются признаки, клинические симптомы или лабораторные показатели, указывающие на развитие ТМА, необходимо обратиться за консультацией к соответствующему специалисту и незамедлительно начать лечение ТМА по клиническим показаниям.
- Лиц, осуществляющих уход за пациентами с СМА, следует проинформировать о признаках и клинических симптомах ТМА (таких как подкожные кровоизлияния, судороги и олигурия) и предупредить о необходимости немедленного обращения за медицинской помощью в случае возникновения указанных симптомов.

Основная информация по проблемам безопасности

Препарат Золгенсма (онасемноген абепарвовек) показан для лечения спинальной мышечной атрофии (СМА). К настоящему времени его получили более 1000 пациентов во всем мире.

ТМА — это гетерогенная группа состояний, включающая гемолитико-уремический синдром (ГУС) и тромботическую тромбоцитопеническую пурпуру (ТТП). В целом, частота встречаемости ТМА у детей оценивается лишь в несколько случаев/миллион/год.

ТМА диагностируют по наличию тромбоцитопении, гемолитической анемии и остро возникшего поражения почек, ее причиной является нарушение регуляции и/или чрезмерная активация альтернативного пути комплемента. Может возникать вследствие

генетических или приобретенных нарушений. ТМА поддается лечению и может пройти на фоне своевременных и надлежащих вмешательств. Очень важно знать о риске возникновения ТМА у пациентов, получающих онасемноген абепарвопек.

До настоящего времени было зарегистрировано в общей сложности пять подтвержденных случаев ТМА у пациентов в возрасте 4-23 месяцев после введения им онасемногена абепарвопек (из примерно 800 пациентов, получивших препарат).

В этих пяти случаях ТМА развилась в течение 6-11 дней после инфузии онасемногена абепарвопек. При этом у пациентов отмечались рвота, артериальная гипертензия, олигурия/анурия и/или отек. Лабораторные исследования выявили тромбоцитопению, повышенный креатинин сыворотки крови, протеинурию и/или гематурию, а также гемолитическую анемию (пониженный уровень гемоглобина в сочетании с шистоцитозом в мазке периферической крови). У двух пациентов также имелись инфекции; при этом оба пациента были недавно (в течение 2-3 недель после введения онасемногена абепарвопек) вакцинированы. Указания по планированию вакцинаций у пациентов, получающих препарат Золгенсма, приведены в инструкции по применению препарата.

В острой фазе все пациенты хорошо отвечали на медицинские вмешательства, включая плазмаферез, системные кортикостероиды, переливания крови и поддерживающее лечение. Двум пациентам была проведена заместительная почечная терапия (гемодиализ или гемофильтрация). К сожалению, один пациент, которому потребовалась заместительная почечная терапия (гемофильтрация), умер через 6 недель после процедуры.

В инструкцию по применению онасемногена абепарвопек будут внесены изменения для того, чтобы сообщить о риске возникновения ТМА и предоставить рекомендации по мониторингу с целью раннего выявления ТМА; также будет рекомендовано предупреждать лиц, осуществляющих уход, о необходимости немедленно обращаться за медицинской помощью в случае появления признаков и симптомов ТМА.

Представление сообщений

Просим Вас сообщать о любых подозреваемых нежелательных реакциях, связанных с применением онасемногена абепарвопек, в соответствии с национальными требованиями через национальную систему представления спонтанных сообщений:

Российская Федерация
ООО «Новартис Фарма»
Адрес: 125315, г. Москва, Ленинградский проспект, дом 70.
Тел.: +7 (495) 967 12 70
Факс: +7 (495) 967 12 68
www.novartis.ru

В целях улучшения мониторинга биологических лекарственных препаратов название и номер серии введенного препарата следует четко документировать.

▼ Препарат Золгенсма подлежит дополнительному мониторингу для быстрого выявления новой информации по безопасности. Мы обращаемся к работникам системы

здравоохранения с просьбой как можно быстрее сообщать о любых подозреваемых
нежелательных реакциях.



Иванов В.А.

Менеджер по регуляторным проектам
ООО «Новartis Фарма»