

Werkafspraken intratheaal onasemnogene abeparvovec (zolgensma, genterapie) voor behandeling SMA in kader van STRENGTH studie

Achtergrond SMA en genterapie:

[N&N MEDISCH - Onasemnogene abeparvovec \(Zolgensma®\) bij patiënten met spinale spieratrofie \(SMA\) type 1 \(versie 2\) \(umcutrecht.nl\)](#)

Intratheaal onasemnogene abeparvovec (Zolgensma)

In studieverband krijgen oudere kinderen intratheaal onasemnogene abeparvovec (zolgensma) toegediend middels een eenmalige injectie. De verwachting is dat er 2-4 kinderen in Utrecht geïncubeerd worden.

De dag voor toediening wordt de patient opgenomen op afdeling Panda (of leeuw ingeval van beademing of hoestmachine) en wordt gestart met prednison.

De dag van toediening wordt de patient opgenomen op pelikaan. Er wordt dan eenmalig bloeddruk, ademhaling, temperatuur en saturatie gemeten. Indien de patient airstackt of de hoestmachine gebruikt wordt dit gedaan op afdeling pelikaan.

Toediening gebeurt onder narcose. Bij aanwezige scoliose (meestal het geval) zal toediening onder doorlichting door de interventie-radioloog gebeuren (WKZ radiologie- aardei).

De patient wordt in bed door personeel pelikaan naar de radiologie afdeling (of indien niet onder doorlichting) of de holding van de OKgebracht.

Een infuus, bij voorkeur waar bloed uit kan worden afgenomen, wordt door de anesthesist geplaatst.

Postinjectie wordt de patient 24-48 uur opgenomen op Pelikaan voor monitoring.

Controles

Post-dose +15min Ademhalingsfrequentie, hartfrequentie, temperatuur, saturatie
post dose + 30 min Ademhalingsfrequentie, hartfrequentie, temperatuur, saturatie, bloeddruk
post dose + 45 min Ademhalingsfrequentie, hartfrequentie, temperatuur, saturatie
post dose + 60 min Ademhalingsfrequentie, hartfrequentie, temperatuur, saturatie, bloeddruk
post dose + 90 min Ademhalingsfrequentie, hartfrequentie, temperatuur, saturatie
post dose + 120 min Ademhalingsfrequentie, hartfrequentie, temperatuur, saturatie, bloeddruk
post dose + 4 uur Ademhalingsfrequentie, hartfrequentie, temperatuur, saturatie
post dose + 6 uur Ademhalingsfrequentie, hartfrequentie, temperatuur, saturatie
post dose + 8 uur Ademhalingsfrequentie, hartfrequentie, temperatuur, saturatie, bloeddruk
post dose + 12 uur Ademhalingsfrequentie, hartfrequentie, temperatuur, saturatie
post dose + 16 uur Ademhalingsfrequentie, hartfrequentie, temperatuur, saturatie, bloeddruk
post dose + 20 uur Ademhalingsfrequentie, hartfrequentie, temperatuur, saturatie
post dose + 24 uur Ademhalingsfrequentie, hartfrequentie, temperatuur, saturatie, bloeddruk
Nadien 1dd Ademhalingsfrequentie, hartfrequentie, temperatuur, saturatie, bloeddruk

Laboratoriumonderzoek 1dd urine, faeces en sputum afnemen (formulieren volgen via Spieren voor Spieren).

Aandachtspunten:

Prednison wordt gecontinueerd op pelikaan 1dd.

Bijwerkingen:

Doordat relatief nieuwe behandeling, en nog geen ervaring mbt intrathecale behandeling zijn bijwerkingen niet volledig bekend. Wel zijn er een aantal mogelijke bijwerkingen door de intrathecale injectie zelf of doordat een adenovirus-vector wordt gebruikt.

Direct na toediening: hoofdpijn, anafylaxie.

Dagen na toediening: thrombopenie, hemolytische anemie, leverfunctiestoornissen, nierfunctiestoornissen.

Veiligheid gedurende behandeltraject met onasemnogene abeparvovec

Onasemnogene abeparvovec is een vorm van gentherapie en moet daarom behandeld worden als Biosafety Level 1 (Zie protocol 'Algemeen infectiepreventiebeleid medewerkers - Biologische veiligheid (Versie 8);

<https://infolandprod.umcutrecht.nl/iprova/iDocument/Viewers/Frameworks/ViewDocument.aspx?DocumentID=e017cd1f-e239-4b94-83accf1dd5b9cfcf&NavigationHistoryID=11613501&PortalID=101&Query=BSL>'.15

Onasemnogene abeparvovec wordt uitgescheiden in speeksel, urine en feces. Concentraties in speeksel en urine zijn op de 2e dag post-intraveneuze dosing verwaarloosbaar klein. De concentratie van onasemnogene abeparvovec in feces is sterk verlaagd na 30 dagen, en 60 dagen postdosing niet meer detecteerbaar. Hoe dit verloopt bij intrathecale toediening is niet bekend. Contact met onasemnogene abeparvovec is gezien de gebruikte AAVs niet ziekmakend, maar moet zekerheidshalve worden vermeden. Gedurende de behandeling zullen daarom de (materialen met) uitscheidingsproducten volgens strikte procedures moeten worden gehanteerd. Aangezien het risico van AAVs op een foetus onbekend zijn, wordt zwangeren afgeraden in het behandelproces deel te nemen. De veiligheidsvoorschriften dienen door de zwangere moeder derhalve met extra zorg in acht te worden genomen

Contactgegevens Spieren voor Spieren: 088 7555013