

Dar el paso siguiente

Ahora que su hijo se ha tratado con ZOLGENSMA® (onasemnogene abeparvovec-xioi), es importante saber cómo continuar el manejo de la atrofia muscular espinal (AME) de su hijo y otras necesidades médicas. ZOLGENSMA no es una cura y no puede revertir el daño ya provocado por la AME antes del tratamiento. Su hijo aún tiene AME, y puede continuar mostrando signos y síntomas ahora o en el futuro. Estos pueden incluir dificultad para tragar, dificultad para respirar o debilidad muscular. **Llame al médico de su hijo si observa estos u otros signos o síntomas.**

Es posible que se necesiten terapias adicionales, alojamiento y apoyo para ayudar a tratar la AME de su hijo y guiar su desarrollo en curso. Use la información en las siguientes páginas para hablar con su médico sobre crear el plan de salud que funcione mejor para las necesidades de su hijo.

“Mi consejo es no darse por vencido nunca. Hay cosas en la vida que van a recaer sobre usted. Simplemente continúe, siga haciendo lo mejor para sus hijos y manténgase fuerte”.

Brandon, padre de Adalyne
que tiene AME de tipo 1

Indicación

ZOLGENSMA es una terapia génica de venta con receta que se usa para tratar a niños menores de 2 años con atrofia muscular espinal (AME). ZOLGENSMA se administra como una infusión de una sola vez en la vena. ZOLGENSMA no se evaluó en pacientes con AME avanzada.

Información importante de seguridad

ZOLGENSMA puede causar una lesión hepática grave aguda. Las enzimas hepáticas podrían aumentar y reflejar una lesión hepática grave aguda en niños que reciben ZOLGENSMA. Los pacientes recibirán un corticoesteroide oral antes y después de la infusión con ZOLGENSMA, y se someterán a análisis de sangre regulares para monitorear la función hepática. Comuníquese con el médico del paciente de inmediato si la piel y/o la parte blanca de los ojos del paciente toma un aspecto amarillento, o si el paciente omite una dosis de corticoesteroide o lo vomita.



Consulte la información importante de seguridad adicional en la página 4, y la información de prescripción completa adjunta.

Un equipo de atención médica completo

El equipo de atención médica de su hijo debe ser personalizado para sus necesidades. Un neurólogo infantil o especialista en enfermedades neuromusculares será quien controle la salud continua de su hijo en relación con la AME, y puede servir como coordinador de la atención. Otros integrantes del equipo de atención de su hijo pueden incluir:

- **Un neumonólogo**, que se especializa en afecciones pulmonares
- **Un gastroenterólogo**, que se especializa en el aparato digestivo
- **Un nutricionista**, que proporciona orientación sobre la alimentación adecuada para ayudar al crecimiento
- **Un traumatólogo**, que se especializa en la salud de los huesos
- **Un fisioterapeuta**, que enseña técnicas de ejercicios terapéuticos y recomienda ejercicios físicos y equipos
- **Un pediatra general**, que proporciona el seguimiento y la atención de rutina

Asistencia respiratoria

Los problemas respiratorios son frecuentes en los niños con AME no tratada y se consideran una complicación grave, especialmente en pacientes con AME de tipo 1 y tipo 2. La AME afecta a los músculos que se usan para respirar, lo que puede llevar a la necesidad de asistencia respiratoria, según la gravedad de la enfermedad. Con frecuencia, se usa un aparato de presión positiva de dos niveles en las vías respiratorias (bilevel positive airway pressure, BiPAP) en niños con AME que presentan problemas para respirar. Este aparato puede ayudar a expulsar el aire a los pulmones para ayudar a la respiración. Un aparato de asistencia para la tos también puede usarse para ayudar a limpiar las vías respiratorias. Cada niño es diferente, por lo tanto, consulte al médico de su hijo si es necesario el uso de equipo o atención respiratoria continua.

Terapia de apoyo

Según la fuerza muscular de su hijo, la fisioterapia puede incluir actividades como estiramiento y ejercicios. También puede incluir aparatos ortopédicos o equipos de posicionamiento, tales como aparatos ortopédicos torácicos, sillas de ruedas, camas de automóvil y marcos para ponerse de pie. Hable con el médico y el fisioterapeuta de su hijo sobre el equipo que puede beneficiar a su hijo. Otras terapias que su médico puede recomendar incluyen la terapia ocupacional, del habla, acuática (ejercicios en una piscina) y la equinoterapia (actividades con caballos).

Visitas de bienestar

La atención preventiva es una de las mejores maneras de defenderse contra determinadas enfermedades y lesiones. Es importante continuar con los controles de rutina y las vacunas de su hijo. Cuanto antes se detecte un problema de salud, más temprano se puede iniciar un tratamiento.

Alimentación

Un nutricionista puede ayudar a asegurar que se cumplan las necesidades nutricionales de su hijo a través de su dieta. Esto puede incluir el control del peso, la ingesta de líquidos y los niveles de las vitaminas, y los nutrientes necesarios para el crecimiento y el desarrollo.

Atención para el cuidador

La demanda de ser un cuidador puede sentirse abrumadora en momentos y puede tener un efecto perjudicial en todo, desde su salud hasta sus relaciones. Es por eso que es importante que se cuide y se enfoque en su propia salud también. Algunas ideas que puede ayudar incluyen:

- **Encontrar tiempo para usted:** trabaje en el jardín o relájese con un libro
- **Pasar tiempo con amigos:** vaya a almorzar o a ver una película
- **Hacer ejercicio:** intente practicar yoga o realizar una caminata rápida alrededor del barrio
- **Hablar con alguien** únase a un grupo de apoyo y conozca otras personas que comprenden lo que usted está atravesando

LA AME DESPUÉS DEL TRATAMIENTO

Notas/preguntas para el médico de mi hijo:

Si tiene alguna pregunta, comuníquese con su administrador de recursos del paciente. Para obtener más información acerca de los grupos de apoyo que respaldan y enseñan a las familias que viven con AME, visite ZOLGENSMA.com.



Consulte la información importante de seguridad y la indicación en la página 4, y la información de prescripción completa adjunta.

Información importante de seguridad e indicación

¿Qué es ZOLGENSMA?

ZOLGENSMA es una terapia génica de venta con receta que se usa para tratar a niños menores de 2 años con atrofia muscular espinal (AME). ZOLGENSMA se administra como una infusión de una sola vez en la vena. ZOLGENSMA no se evaluó en pacientes con AME avanzada.

¿Cuál es la información más importante que debo saber acerca de ZOLGENSMA?

- ZOLGENSMA puede causar una lesión hepática grave aguda. Las enzimas hepáticas podrían aumentar y reflejar una lesión hepática grave aguda en niños que reciben ZOLGENSMA.
- Los pacientes recibirán un corticoesteroide oral antes y después de la infusión con ZOLGENSMA y se someterán a análisis de sangre regulares para monitorear la función hepática.
- Comuníquese con el médico del paciente de inmediato si la piel y/o la parte blanca de los ojos del paciente toma un aspecto amarillento, o si el paciente omite una dosis de corticoesteroide o la vomita.

¿Qué debo observar antes y después de la infusión con ZOLGENSMA?

- Las infecciones respiratorias virales antes o después de la infusión de ZOLGENSMA pueden dar lugar a complicaciones más graves. Comuníquese con el médico del paciente de inmediato si ve signos de una posible infección respiratoria viral, como tos, sibilancia, estornudos, secreción nasal, dolor de garganta o fiebre.
- Después de la infusión con ZOLGENSMA podría producirse una disminución de los recuentos de plaquetas. Busque atención médica de inmediato si un paciente experimenta sangrado o moretones inesperados.

¿Qué debo saber acerca de las vacunaciones y ZOLGENSMA?

- Hable con el médico del paciente para decidir si se necesitan ajustes en el cronograma de vacunación para acomodar el tratamiento con un corticoesteroide.
- Se recomienda la protección contra el virus respiratorio sincicial (VRS).

¿Debo tomar precauciones relacionadas con los desechos del cuerpo del paciente?

En forma temporal, es posible que se encuentren pequeñas cantidades de ZOLGENSMA en las heces del paciente. Mantenga una buena higiene de las manos al entrar en contacto directo con desechos corporales durante 1 mes después de la infusión con ZOLGENSMA. Los pañales descartables deben sellarse en bolsas de basura descartables y tirarse con la basura habitual.

¿Cuáles son los efectos secundarios posibles o probables de ZOLGENSMA?

Los efectos secundarios más frecuentes que se produjeron en los pacientes tratados con ZOLGENSMA fueron el aumento de las enzimas hepáticas y los vómitos.

La información de seguridad proporcionada aquí no es exhaustiva. Hable con el médico del paciente acerca de cualquier efecto secundario que moleste al paciente o que no desaparezca.

Le recomendamos que informe las sospechas de efectos secundarios, comunicándose con la Administración de Alimentos y Medicamentos (Food and Drug Administration, FDA) al 1-800-FDA-1088 o en www.fda.gov/medwatch, o con AveXis al 833-828-3947.

Consulte la [información de prescripción completa](#).



©2019 AveXis, Inc. Todos los derechos reservados.
US-ZOL-19-0209 11/2019

