

# ZOLGENSMA® (onasemnogene abeparvovec-xioi)

## Lista de verificación para la preparación para el cuidador

Esta lista de verificación es solo para fines informativos.

Le recomendamos que siga siempre los consejos de su médico sobre cualquier instrucción médica.



### Antes del día del tratamiento

#### Solicite confirmación

- Confirme la fecha, la hora y la ubicación de la infusión de su hijo con su médico o con el equipo de atención.
- Hable con su médico para confirmar que se realizarán las pruebas iniciales necesarias antes del día del tratamiento.
  - » En este momento, su médico debería haberle realizado las siguientes pruebas: una prueba de anticuerpos anti-AAV9 y la función hepática, creatinina, hemograma completo (incluido el recuento de hemoglobina y plaquetas) y pruebas de troponina I iniciales.
- Pregunte al centro de tratamiento cuántos miembros de la familia pueden acompañarlos a usted y a su hijo el día de la infusión.

#### Proteger contra las enfermedades y preparar el hogar

- Mantenga a su familia a salvo. Limitar la interacción de su hijo con personas enfermas o con grupos numerosos puede reducir el riesgo de enfermedad e infección.
- Adopte buenas prácticas de higiene de las manos.
- Comuníquese con su médico de inmediato si ve signos de una posible infección respiratoria viral, como tos, sibilancia, estornudos, secreción nasal, dolor de garganta o fiebre.
  - » Las infecciones respiratorias virales antes o después de la infusión de ZOLGENSMA pueden dar lugar a complicaciones más graves.
- Prepare cambiador de su hijo en el hogar y compre bolsas sellables para usarlas durante 1 mes después de la infusión.

**Los resultados y desenlaces varían entre los niños en función de varios factores, como el grado de avance de los síntomas de la AME antes de recibir el tratamiento.**

#### 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 una 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 es posible que reflejen una lesión hepática grave aguda en niños que reciben ZOLGENSMA. Los pacientes recibirán un corticosteroide oral antes y después de la infusión con ZOLGENSMA, y se someterán a análisis de sangre regulares para controlar la función hepática. Comuníquese con el médico del paciente de inmediato si la piel y/o la parte blanca de los ojos del paciente toman un aspecto amarillento, o si el paciente omite una dosis de corticosteroide o lo vomita.

#### Surta y administre el corticosteroide recetado y determine el cronograma de vacunación

- Surta por adelantado la receta del corticosteroide sistémico prescrito por el médico para su hijo. Es posible que la farmacia no tenga este medicamento en stock y deba pedirlo.
- Dé a su hijo su primera dosis de corticosteroide el día antes de la infusión, según las indicaciones de su médico. Verifique con su médico a qué hora debe tomar el corticosteroide su hijo. Comuníquese con su médico de inmediato si su hijo vomita el corticosteroide.
- Hable con su médico acerca de la dosis del día de la infusión para el corticosteroide.
  - » Algunos centros de tratamiento no le permitirán traer su propio corticosteroide recetado. Si no puede llevar su propio medicamento recetado, pregunte quién proporcionará el corticosteroide, quién lo administrará y cuándo se llevará a cabo la administración.
- Hable con su médico sobre los posibles efectos secundarios que pueden aparecer después del tratamiento, especialmente qué hacer si se producen vómitos o fiebre.

Consulte la Información importante de seguridad adicional que se encuentra en la [página 3](#) y la [Información de prescripción completa](#) que se adjunta.



## Antes del día del tratamiento (continuación)

### Cómo prepararse para la infusión

- Arme un bolso para que usted y su familia tengan lo que necesitan para estar cómodos el día de la infusión, incluidos refrigerios, bebidas, actividades de entretenimiento y, si es necesario, pañales descartables, biberones y fórmula.
- Traiga algo que a su hijo le resulte familiar y reconfortante para que lo tenga durante la infusión.
- Traiga un anotador y un bolígrafo para anotar las preguntas que pueda tener antes, durante y después de la infusión. Si prefiere tomar notas en un dispositivo, asegúrese de que esté cargado y de traer el cargador con usted.
- Traiga todos los equipos relacionados con la AME que normalmente use. Es posible que los centros de infusión no tengan los equipos que usted necesita.



## Día del tratamiento

- Antes de que abandone el hospital, solicite que el equipo de atención o el médico encargados de la infusión de su hijo llenen el plan para las citas posteriores al tratamiento con ZOLGENSMA® (onasemnogene abeparvovec-xioi). Su médico o el equipo de atención también deben revisar esta información con usted. El kit incluye secciones para que tome notas y escriba la información de contacto del equipo de atención médica de su hijo.
  - » Pregunte al médico que realiza la infusión quién controlará la función hepática de su hijo, la creatinina, el hemograma completo (incluida la hemoglobina y el recuento de plaquetas) y los niveles de troponina-I. Además, confirme si es necesario que regrese al centro de la infusión para el monitoreo o si se llevará a cabo en el consultorio de su pediatra.
  - » Obtenga la información de contacto del médico encargado de la infusión en caso de que otro médico del equipo de atención médica de su hijo necesite hablar con él o ella.

Los resultados y desenlaces varían entre los niños en función de varios factores, como el grado de avance de los síntomas de la AME antes de recibir el tratamiento.

Visite [ZOLGENSMA.com](https://www.zolgensma.com) para obtener recursos sobre el día del tratamiento y después del tratamiento.



## Después del día del tratamiento

- Su hijo continuará recibiendo el corticosteroide después del día de la infusión según lo indicado por su médico. Comuníquese con su médico de inmediato si se omite o vomita una dosis del corticosteroide.
- Hable con su médico sobre la programación de citas de seguimiento. Su médico controlará la función hepática y otros marcadores mediante análisis de sangre.
  - » Función hepática semanal (examen clínico y análisis de sangre) durante el primer mes y luego una semana sí y otra no durante el segundo y tercer mes hasta que los resultados no sean notables.
  - » Recuentos de plaquetas semanales durante el primer mes, y luego una semana sí y otra no durante el segundo y el tercer mes hasta que los recuentos de plaquetas regresen a los valores iniciales.
  - » Troponina-I semanalmente durante el primer mes, y luego mensualmente durante el segundo y el tercer mes hasta que el nivel de troponina-I vuelva al nivel inicial.
- Hable con su médico para decidir si se necesitan ajustes en el cronograma de vacunación de su hijo para acomodar el tratamiento con el corticosteroide.
  - » Se recomienda la protección contra el virus respiratorio sincicial (VRS).
- Comuníquese con su médico de inmediato si la piel y/o la parte blanca de los ojos de su hijo adquieren un color amarillento.
- Podría producirse una disminución de los recuentos de plaquetas en sangre después de la infusión con ZOLGENSMA. Se ha informado de la aparición de microangiopatía trombótica (MAT) aproximadamente una semana después de la infusión de ZOLGENSMA. Busque atención médica inmediata si su hijo experimenta cualquier signo o síntoma de MAT, como moretones o sangrado inesperados, convulsiones o disminución de la producción de orina.
- En forma temporal, es posible que se encuentren pequeñas cantidades de ZOLGENSMA en las heces de su hijo. 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.

### Cómo prepararse para el futuro con AME

- Continúe yendo a la clínica neuromuscular especializada en AME, o busque una, para que le brinde atención uniforme.
  - » Es importante recordar que su hijo aún tiene AME y necesitará un equipo de atención médica de especialistas para atender sus necesidades.

## Indicación e información de seguridad importante

### ¿Qué es ZOLGENSMA?

ZOLGENSMA® (onasemnogene abeparvovec-xioi) 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 una 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 es posible que reflejen una lesión hepática grave aguda en niños que reciben ZOLGENSMA.
- Los pacientes recibirán un corticosteroide oral antes y después de la infusión con ZOLGENSMA, y se someterán a análisis de sangre regulares para controlar la función hepática.
- Comuníquese con el médico del paciente de inmediato si la piel y/o la parte blanca de los ojos del paciente toman un aspecto amarillento, o si el paciente omite una dosis de corticosteroide o lo 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 el paciente experimenta sangrado o moretones inesperados.
- Se ha informado de la aparición de microangiopatía trombótica (MAT) aproximadamente una semana después de la infusión de ZOLGENSMA. Los cuidadores deben buscar atención médica inmediata si el paciente experimenta cualquier signo o síntoma de MAT, como moretones o sangrado inesperados, convulsiones o disminución de la producción de orina.

### ¿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 corticosteroide.
- Se recomienda la protección contra el virus respiratorio sincicial (VRS).

### ¿Debo tomar precauciones relacionadas con los desechos corporales 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 cualquiera de los efectos secundarios que molesten al paciente o que no desaparezcan.**

**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](http://www.fda.gov/medwatch), o con Novartis Gene Therapies, Inc. al 833-828-3947.**

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

