



## Realice el siguiente paso para su hijo

Una vez que usted y el médico de su hijo hayan analizado los posibles riesgos y beneficios de ZOLGENSMA<sup>®</sup> (onasemnogene abeparvovec-xioi) y lo hayan elegido como la opción de tratamiento de su hijo, los pasos en las siguientes páginas ayudarán a su familia a comprender qué esperar luego.

Trabaje junto con su médico para encontrar un centro de tratamiento por correo electrónico a [treatments@curesma.org](mailto:treatments@curesma.org).

## Comenzar con ZOLGENSMA

**1**  
Determinar  
si su hijo es  
elegible para  
el tratamiento  
con  
ZOLGENSMA



**2**  
Conectarse  
con el  
programa  
OneGene  
Program<sup>™</sup>



**3**  
Prepararse  
para el  
día de  
tratamiento



**4**  
Día del  
tratamiento



**5**  
Después del  
tratamiento  
con  
ZOLGENSMA

### Apoyo de OneGene Program

Saber qué esperar y qué puede hacer en este momento los ayudará a usted y a su hijo a prepararse para el tratamiento con ZOLGENSMA. OneGene Program brinda apoyo a lo largo del camino. Este programa es un recurso dedicado que le proporciona AveXis y está específicamente diseñado para ayudarlos a usted y a su familia. Para saber más, comuníquese con OneGene Program al 855-441-GENE (4363), de lunes a viernes (8 a. m. a 8 p. m. hora del este).

## 1

## Determinar si su hijo es elegible para el tratamiento con ZOLGENSMA

ZOLGENSMA® (onasemnogene abeparvovec-xioi) es una terapia génica de venta con receta que se usa para tratar niños menores de 2 años con atrofia muscular espinal (AME). Se administra como una infusión por única vez en la vena. ZOLGENSMA no se evaluó en pacientes con AME avanzada y no se recomienda en bebés prematuros antes de que alcancen la edad de término completo. Una vez que usted y el médico de su hijo hayan elegido el tratamiento con ZOLGENSMA, hay algunos pasos que deben seguirse para determinar la elegibilidad.



### Completar los análisis de laboratorio necesarios

- **Confirmar el diagnóstico de AME a través de una prueba genética**

Antes de que se pueda administrar ZOLGENSMA, se debe confirmar el diagnóstico de AME. Si es necesario, su médico le pedirá una prueba genética para confirmar que el gen de supervivencia de la neurona motora 1 (survival motor neuron 1, *SMN1*) falta o no funciona.

- **Su médico debe realizar una prueba de anticuerpos AAV9**

Una prueba de anticuerpos contra el virus adenoasociado 9 (adeno-associated virus 9, AAV9) mide la cantidad de anticuerpos anti-AAV9 en la sangre de su hijo. Si el sistema inmunitario de su hijo ha acumulado un cierto nivel de anticuerpos anti-AAV9, es posible que no reúna los requisitos para ZOLGENSMA de inmediato. Si los anticuerpos anti-AAV9 de su hijo son demasiado altos, su médico tiene la opción de repetir la prueba. Hable con su médico acerca de la prueba de anticuerpos AAV9.

- **Su médico debe realizar análisis iniciales de enzimas hepáticas, plaquetas y troponina-I**

Su médico deberá realizar análisis de sangre para controlar la función hepática de su hijo y para establecer los niveles iniciales de otros marcadores en la sangre. Estas mediciones antes de la administración de dosis ayudarán a su médico y al equipo de atención a monitorear los niveles de su hijo después de la administración de la dosis. Su médico le dará una receta para un corticoesteroide oral para comenzar el día antes de la infusión de su hijo.



### Haga que su médico presente un Formulario de receta de ZOLGENSMA y un Formulario de consentimiento del paciente

Mientras se esperan los resultados de los análisis, su médico puede presentar un Formulario de receta de ZOLGENSMA y un Formulario de consentimiento del paciente al OneGene Program™. Esto comienza el proceso para evaluar la cobertura del seguro y los requisitos de autorización, y lo ayuda a obtener información sobre el apoyo al paciente que ofrece el OneGene Program. Usted tendrá que firmar el Formulario de consentimiento del paciente para que tener acceso a todo el apoyo proporcionado por el OneGene Program.



2

## Conectarse con el programa OneGene Program

OneGene Program™ es un recurso dedicado que le proporciona AveXis. Está diseñado para apoyarlos y guiarlos a usted, y su familia en cada paso durante el tratamiento. Después de que se reciban el Formulario de receta de ZOLGENSMA® (onasemnogene abeparvovec-xioi) y el Formulario de consentimiento del paciente, un equipo de personas dedicadas y altamente capacitadas se comunicará con usted para analizar la variedad de recursos para el paciente que se encuentran disponibles para apoyar a su familia. Para obtener más información, puede comunicarse con el OneGene Program al 855-441-GENE (4363), de lunes a viernes (8 a. m. a 8 p. m. hora del este).

**Algunos de los recursos que proporciona el OneGene Program incluyen lo siguiente:**



Un **administrador de recursos del paciente**, quien es la persona de contacto en nombre de AveXis. Esta persona proporciona orientación experta y apoyo emocional en cada paso del camino de su tratamiento, y responde preguntas sobre ZOLGENSMA.




Un **coordinador de caso**, quien actúa como un intermediario para conectarlo con los recursos quien pueda necesitar y ayuda a los médicos con los procesos del seguro. Otro tipo de ayuda que puede proporcionar un coordinador de caso incluye la verificación de los beneficios del seguro y la coordinación de los programas de asistencia financiera para los pacientes elegibles.



Un **administrador de reembolsos de campo**, quien ayuda al médico de su hijo con los requisitos y las autorizaciones del seguro. Otro apoyo incluye el seguimiento de la receta de su hijo a través de las aprobaciones del seguro, el proceso de farmacia y el camino del envío para garantizar que se entregue al lugar correcto en el momento correcto.



El consultorio de su médico hará un seguimiento con usted sobre el estado de la aprobación de su cobertura del seguro para ZOLGENSMA. 

Consulte la información importante de seguridad y la indicación en la página 7, y la información de prescripción completa adjunta.

# 3 Prepararse para el día de tratamiento

Si su hijo está aprobado para el tratamiento con ZOLGENSMA® (onasemnogene abeparvovec-xioi), el médico y el equipo de atención de su hijo lo ayudarán a asegurarse de que usted sepa exactamente qué esperar en el día del tratamiento y cómo prepararse. Además, su administrador de recursos del paciente trabajará con usted para comprender la manera en que él o ella puede apoyar mejor a su familia el día del tratamiento.



Si aún no se han realizado, su médico deberá realizar análisis de sangre para controlar la función hepática de su hijo y para establecer los niveles iniciales de otros marcadores en la sangre. Estas mediciones antes de la administración de dosis ayudarán a su médico y al equipo de atención a monitorear los niveles de su hijo después de la administración de la dosis. Su médico le dará una receta para un corticoesteroide oral para comenzar el día antes de la infusión de su hijo.



Un tratamiento con un corticoesteroide oral\* se debe comenzar el día antes de la infusión con ZOLGENSMA. Esto ayuda a manejar las reacciones del sistema inmunitario del cuerpo a ZOLGENSMA de aumento de las enzimas hepáticas.



Hable con su médico y el equipo de atención acerca de cualquier integrante de la familia que desearía tener con usted en el día de tratamiento. Tiene la opción de tener presente a su administrador de recursos del paciente el día del tratamiento para apoyar a su familia. Pídale a su administrador de recursos del paciente que hable con el médico y el equipo de atención con anterioridad para que se pueda tratar cualquier medida necesaria antes del día del tratamiento.




Las infecciones respiratorias virales antes o después de la infusión de ZOLGENSMA pueden dar lugar a complicaciones más graves. 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.

\*El médico responsable determinará el ciclo de tratamiento específico para cada paciente. El ciclo de tratamiento se basa en varios factores clínicos y en el criterio del médico. Los cuidadores deben analizar las recomendaciones específicas del tratamiento con el médico responsable.



Si tiene alguna pregunta adicional antes del día del tratamiento, puede comunicarse con su médico y el equipo de atención, el administrador de recursos del paciente, o el equipo de apoyo de OneGene Program™.



Consulte la información importante de seguridad y la indicación en la página 7, y la **información de prescripción completa** adjunta.

## 4

## Día del tratamiento

### El día del tratamiento, a su hijo se le infundirá ZOLGENSMA

Debe darle a su hijo la segunda dosis del corticoesteroide oral el día de la infusión según lo indicado para ayudar a manejar las reacciones a ZOLGENSMA® (onasemnogene abeparvovec-xioi) del sistema inmunitario del cuerpo. La infusión real tardará 60 minutos. Sin embargo, consulte al médico o al equipo de atención de su hijo para obtener detalles adicionales sobre el cronograma para el día. Recuerde hablar con su médico y el equipo de atención acerca de cualquier integrante de la familia que desearía tener con usted en el día de tratamiento. Puede tener la opción tener presente a su administrador de recursos del paciente el día del tratamiento para apoyar a su familia.

### Plan posterior al tratamiento

Antes de que abandone el hospital, hable con su médico acerca del seguimiento y el monitoreo adicionales posteriores al tratamiento. Usted continuará administrando a su hijo el corticoesteroide según lo indicado por su médico. Su médico controlará la función hepática de su hijo durante, al menos, 3 meses después de la infusión mediante exámenes clínicos y análisis de sangre semanales durante el primer mes, y cada dos semanas durante el segundo y el tercer mes. Su médico determinará cuándo reducir gradualmente la dosis del corticoesteroide y cuándo suspenderlo.

- Debe comunicarse con su médico de inmediato si se omite o vomita una dosis del corticoesteroide.
- Hable con su médico acerca de cualquier efecto secundario.

Además de la función hepática, su médico controlará otros marcadores a través de análisis de sangre, lo cual puede requerir citas semanales:

- Recuentos de plaquetas semanales durante el primer mes, y luego cada dos semanas 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.



## 5 Después del tratamiento con ZOLGENSMA

### Apoyo que va más allá

Su apoyo continúa después del tratamiento con ZOLGENSMA® (onasemnogene abeparvovec-xioi). Los próximos pasos incluirán lo siguiente:

- Realizar un seguimiento con el médico de su hijo a fin de evaluar su evolución.
- Hablar con su especialista en enfermedades neuromusculares para revisar los servicios (como la fisioterapia y la terapia ocupacional, trabajar con un nutricionista y reunirse con un neumólogo) para determinar qué tipo de atención de apoyo puede ser mejor para su hijo después del tratamiento.
- Compartir información acerca de la AME y de ZOLGENSMA con su pediatra.

### Continuar la atención de la AME de su hijo

Si bien ZOLGENSMA reemplaza la función del gen *SMN1* faltante o que no funciona de su hijo, él aún tiene AME. Es por eso que es importante trabajar con su médico y el equipo de atención, y revisar las necesidades de atención de apoyo. Su hijo puede continuar mostrando signos y síntomas de AME ahora o en el futuro. Estos pueden incluir dificultad para tragar o respirar, o debilidad muscular. **Llame a su médico 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.

## 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 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 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](http://www.fda.gov/medwatch), o con AveXis al 833-828-3947.**

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