

Qué observar después de la infusión de su hijo con ZOLGENSMA[®] (onasemnogene abeparvovec-xioi)

- Llame al médico de su hijo/a si tiene alguna pregunta o inquietud que no amenace la vida. Llame al 9-1-1 por cualquier inquietud que represente un riesgo para la vida.
- 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.
 - Para manejar posibles aumentos en las enzimas hepáticas, su hijo debe ser tratado con un corticosteroide sistémico* antes y después de la infusión con ZOLGENSMA. Hable con el médico acerca de la dosis recomendada y los efectos secundarios del corticosteroide sistémico.
- El corticosteroide sistémico (equivalente a prednisona en dosis de 1 mg/kg/día) se debe comenzar el día antes de la infusión con ZOLGENSMA y continuar todos los días durante un total de 30 días mientras su médico controla la función hepática de su hijo. Después de 30 días, su hijo continuará tomando el corticosteroide oral, pero puede ser a una dosis diferente.
 - Su médico controlará la función hepática de su hijo después del tratamiento con ZOLGENSMA a través de análisis de sangre y exámenes clínicos, determinará cuándo se debe comenzar a disminuir la dosis del corticosteroide y, finalmente, interrumpir el corticosteroide. El período de disminución de la dosis sugerido es no menos de 28 días. Su médico controlará la función hepática de su hijo semanalmente durante el primer mes y luego cada dos semanas durante el segundo y el tercer mes, hasta que los resultados retornan a los niveles normales.
 - No interrumpa de manera abrupta el corticosteroide.
 - Comuníquese con su médico de inmediato si su hijo omite o vomita una dosis del corticosteroide.
 - Comuníquese con su médico de inmediato si la piel y/o la parte blanca de los ojos de su hijo se tornan de color amarillento.
- Después de la infusión con ZOLGENSMA, podría producirse una disminución de los recuentos de plaquetas. Su médico controlará los recuentos de plaquetas de su hijo semanalmente durante el primer mes. Esto continuará cada dos semanas durante el segundo y el tercer mes, hasta que los recuentos regresen a los niveles iniciales (los que tenía antes del tratamiento). Debe buscar atención médica de inmediato si su hijo experimenta sangrado o moretones inesperados.
- 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/a experimenta cualquier signo o síntoma de MAT, como moretones o sangrado inesperados, convulsiones o disminución de la producción de orina.
- Pueden producirse aumentos transitorios en los niveles de troponina-I cardíaca después de la infusión de ZOLGENSMA. Su médico controlará el nivel de troponina-I de su hijo semanalmente durante el primer mes y luego mensualmente durante el segundo y el tercer mes hasta que esta regrese a su nivel inicial.
- Consulte a su médico de seguimiento por las visitas programadas, que pueden ser semanalmente y pueden incluir monitoreo de laboratorio.

*El médico responsable determinará el ciclo de tratamiento de corticosteroide 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.

UN PLAN DE ATENCIÓN PARA SU HIJO DESPUÉS DEL TRATAMIENTO

- En forma temporal, es posible que se encuentren pequeñas cantidades de ZOLGENSMA® (onasemnogene abeparvovec-xioi) en las heces hijo. Debe tener 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.
- Es posible que el cronograma de vacunación de su hijo deba ajustarse para acomodar el tratamiento con un corticosteroide oral. Hable con el médico de su hijo/a para decidir si son necesarios ajustes al cronograma de su hijo durante el uso de corticosteroides orales. Se recomienda la protección contra el virus respiratorio sincicial (VRS).
- 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.

Preguntas frecuentes

- ¿A quién debo acudir para el monitoreo médico y las pruebas analíticas de mi hijo/a?
- ¿Qué debo vigilar después de la infusión?
- ¿Por qué es necesario sellar los pañales en bolsas de basura desechables?

Asegúrese de llevar consigo un cuaderno cada vez que vaya a la consulta del médico para que pueda llevar un registro de sus preguntas y respuestas.

“

Es muy importante que los cuidadores confíen siempre en su intuición. Si tiene alguna pregunta, es fundamental que hable con su equipo de atención médica. Póngase siempre en contacto.

Samantha, madre de Stella, a quien se diagnosticó AME de tipo 1

”



El manejo y el monitoreo son elementos importantes del camino del tratamiento

Lleve este cuadro con usted a la próxima cita de su hijo. Se debe controlar la función hepática, el recuento de plaquetas y la troponina-I de su hijo de la siguiente manera:

EVALUACIONES BASALES ANTES DE LA INFUSIÓN												
Al inicio, evaluar la función hepática, la creatinina, el recuento sanguíneo completo (incluyendo la hemoglobina y el recuento de plaquetas) y la troponina-I												
MONITOREO POSTERIOR A LA INFUSIÓN												
PRUEBA	MES 1				MES 2				MES 3			
	SEMANA 1	SEMANA 2	SEMANA 3	SEMANA 4	SEMANA 5	SEMANA 6	SEMANA 7	SEMANA 8	SEMANA 9	SEMANA 10	SEMANA 11	SEMANA 12
Función hepática	✓	✓	✓	✓		✓		✓		✓		✓
Recuento de plaquetas	✓	✓	✓	✓		✓		✓		✓		✓
Troponina-I	✓	✓	✓	✓				✓				✓

✓ = monitoreo realizado.

UN PLAN DE ATENCIÓN PARA SU HIJO DESPUÉS DEL TRATAMIENTO

Equipo de atención médica de AME de su hijo

ZOLGENSMA® (onasemnogene abeparvovec-xioi) no es una cura. No puede revertir el daño ya causado por la atrofia muscular espinal (AME) antes del tratamiento. Además de ver a su pediatra para la atención de rutina, su hijo tendrá que ver a un experto en AME (un neurólogo pediátrico o especialista en enfermedades neuromusculares). Este especialista controlará la salud de su hijo en forma continua en relación con la AME y puede ser la persona de referencia de su equipo de atención multidisciplinario. Otros integrantes de su equipo de atención dependerán de las sus necesidades hijo, pero pueden incluir los siguientes:

- Un neumonólogo, que se especializa en afecciones pulmonares
- Un gastroenterólogo, que se especializa en el aparato digestivo
- Un especialista en dietética/nutricionista matriculado, 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

Esta no es una lista completa del equipo de atención médica que puede necesitar su hijo. Los miembros del equipo pueden cambiar con el tiempo y pueden ser diferentes para cada niño.

Use el espacio a continuación para llevar un registro de los datos del equipo de atención de AME de su hijo.

ESPECIALIDAD	NOMBRE	LUGAR	NÚMERO DE TELÉFONO	RESPONSABILIDAD



Consulte la Indicación y la Información importante de seguridad en la **página 5**, y la **Información de prescripción completa** adjunta.

Indicación e Información importante de seguridad

¿Qué es ZOLGENSMA?

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, o con Novartis Gene Therapies, Inc. llamando al 833-828-3947.

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

