



Guía de seguridad dirigida a profesionales sanitarios ▼Zolgensma (onasemnogén abeparvovec)



Esta guía debe leerse junto con la [ficha técnica](#).

Información sobre prevención de riesgos acordada con la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS). Septiembre 2024

Disponible en la página web de la AEMPS www.aemps.gob.es

▼ Este medicamento está sujeto a seguimiento adicional, es prioritaria la notificación de sospechas de reacciones adversas asociadas a este medicamento.

1. Información de seguridad

El objetivo de esta guía es proporcionar medidas de seguridad al profesional sanitario para minimizar los posibles riesgos asociados a la administración de Zolgensma (onasemnogén abeparvovec). Concretamente, se advierte sobre los riesgos que se indican a continuación:



Hepatotoxicidad

La hepatotoxicidad inmunomediada después del tratamiento generalmente se manifiesta con niveles elevados de ALT o AST.

Se han notificado casos de daño hepático agudo grave e insuficiencia hepática aguda, incluyéndose casos mortales. Estos acontecimientos aparecieron más frecuentemente durante los dos meses posteriores al tratamiento, a pesar de recibir la administración de corticosteroides antes y después de la perfusión.

La aparición de hepatotoxicidad puede requerir un ajuste del régimen inmunomodulador.

Trombocitopenia

En los estudios clínicos se observaron disminuciones transitorias del recuento de plaquetas, algunas de las cuales cumplían los criterios de trombocitopenia.



Microangiopatía trombótica

Este medicamento podría aumentar el riesgo de microangiopatía trombótica (MAT), generalmente durante las dos primeras semanas posteriores al tratamiento.

La MAT es una enfermedad aguda y potencialmente mortal, caracterizada por trombocitopenia, anemia hemolítica microangiopática y daño renal agudo. Se han notificado desenlaces mortales tras el tratamiento. También se ha notificado la existencia de factores desencadenantes que pueden activar el sistema inmunitario de manera concurrente (p. ej., infecciones o vacunaciones).

Si los pacientes presentan signos, síntomas o hallazgos de laboratorio compatibles con la MAT, se debe consultar con un especialista de inmediato para tratar la MAT según lo indicado clínicamente.

2. Antes de iniciar el tratamiento

Informe sobre los riesgos

Informe a los cuidadores sobre los principales riesgos asociados a este medicamento y sobre sus signos/síntomas, incluidos, entre otros, MAT, insuficiencia hepática y trombocitopenia.



Análisis de sangre

Antes de recibir el tratamiento, los pacientes deben someterse a una prueba debidamente validada para detectar la presencia de anticuerpos frente a AAV9.

Indique a los cuidadores que es necesario tomar muestras de sangre con regularidad

Se debe indicar a los cuidadores que se realizarán análisis de sangre durante al menos 3 meses después del tratamiento.



24 horas antes de la perfusión, se recomienda iniciar una pauta de corticosteroides

Informe a los cuidadores sobre la importancia de la medicación con corticosteroides

Informe a los cuidadores sobre la urgencia de notificar de inmediato la presencia de vómitos en el paciente, para asegurar que no se omite ninguna dosis de corticosteroides.

Infecciones

Informe a los cuidadores sobre la necesidad de una mayor vigilancia en la prevención, la monitorización y el tratamiento de las infecciones antes y después de la perfusión de Zolgensma.

Los cuidadores deberán:

- Ser informados de los signos y síntomas indicativos de infección. Si el paciente presenta signos y síntomas, deberán ponerse en contacto con usted de inmediato.
- Ayudar a prevenir infecciones evitando situaciones que puedan aumentar el riesgo de que el paciente las contraiga, como mantener una buena higiene de manos, seguir un procedimiento adecuado al toser/estornudar y limitar los posibles contactos con otras personas.

En caso de infecciones activas agudas o crónicas no controladas, deberá posponerse el tratamiento hasta que la infección se haya resuelto y el paciente esté clínicamente estable.



Calendario de vacunación

Antes del inicio del tratamiento se deberá evaluar el calendario de vacunación del paciente.

3. En el momento de la perfusión



Salud general

Compruebe si el estado de salud general del paciente es el adecuado para la perfusión (p. ej., resolución de infecciones) o si está justificado posponerla.

En caso de infecciones activas agudas o crónicas no controladas, deberá posponerse el tratamiento hasta que la infección se haya resuelto y el paciente esté clínicamente estable.



Administración de corticosteroides

Compruebe que el tratamiento con corticosteroides haya comenzado 24 horas antes de la perfusión.

Consulte el apartado 4.2 de la [ficha técnica](#) para obtener información importante sobre la posología y la administración de Zolgensma.



4. Después de la perfusión

Administración de corticosteroides

El tratamiento con corticosteroides se deberá continuar durante al menos 2 meses y no se deberá reducir gradualmente la dosis hasta que los niveles de ALT/AST estén por debajo de 2 veces el límite superior de normalidad (LSN) y todas las demás evaluaciones, p. ej., la bilirrubina total, vuelvan al rango normal.

Si en algún momento los pacientes no responden adecuadamente al equivalente a 1 mg/kg/día de prednisolona oral, se debe consultar inmediatamente con un pediatra gastroenterólogo o hepatólogo, y ajustar el régimen inmunomodulador recomendado. Se debe considerar aumentar la dosis, una duración mas prolongada o un aumento en el tiempo en la reducción de dosis

Eliminación desechos corporales

Zolgensma contiene organismos genéticamente modificados. Por tanto, se deberán tomar las precauciones adecuadas cuando se manipule o administre Zolgensma.

Para obtener instrucciones detalladas sobre la preparación, manipulación, exposición accidental y desecho de Zolgensma (incluyendo la correcta manipulación de desechos corporales), consulte la ficha técnica.

Proporcione a los cuidadores los siguientes consejos prácticos sobre la eliminación de los desechos corporales para que los sigan durante al menos un mes después de la última perfusión



Utilizar guantes protectores cuando entren en contacto con fluidos o desechos corporales.



Lavarse bien las manos después con jabón y agua corriente tibia o un desinfectante para manos a base de alcohol.



Utilizar bolsas de plástico dobles para desechar los pañales usados y otros residuos. Pueden eliminarse conjuntamente con la basura doméstica.

Análisis regulares

Después de la perfusión, se deberá realizar un control (clínico y analítico) estrecho y regular de la situación de cada paciente durante al menos 3 meses.



Se debe vigilar la función hepática (ALT, AST, bilirrubina total) a intervalos regulares durante al menos 3 meses después de la perfusión.

Los pacientes que presenten un empeoramiento de los resultados de las pruebas de la función hepática o signos/síntomas de enfermedad aguda se deberán evaluar de forma inmediata y se les deberá controlar estrechamente.

Si los pacientes no responden inmediatamente a los corticosteroides, o en caso de sospecha de daño hepático, se deberá consultar con un pediatra gastroenterólogo o hepatólogo.



Se deben vigilar estrechamente los recuentos de plaquetas durante las 3 primeras semanas después de la perfusión, y posteriormente de manera regular (al menos semanalmente el primer mes y cada dos semanas, el segundo y el tercer mes).

En caso de sospecha de MAT, se deberá consultar con un especialista.

Notificación de sospechas de reacciones adversas

Se recuerda la importancia de notificar las sospechas de reacciones adversas a través del Sistema Español de Farmacovigilancia de Medicamentos de Uso Humano o del formulario electrónico disponible en <https://www.notificaram.es>.

