



Guía para el cuidador sobre el tratamiento con ▼Zolgensma (onasemnogén abeparvovec)



Lea esta información junto con el prospecto.

**Si tiene alguna pregunta o duda sobre Zolgensma,
consulte al médico o enfermero de su hijo.**

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 importante comunicar los efectos adversos que pudiera tener el paciente. Puede consultar la forma de hacerlo en el prospecto del medicamento.

¿Qué es la AME?

La **atrofia muscular espinal (AME)** es una enfermedad genética rara en la que las células nerviosas que controlan el movimiento muscular (motoneuronas) se deterioran y dejan de funcionar, causando debilidad muscular.

Para el correcto funcionamiento de las motoneuronas es necesaria una proteína llamada de "supervivencia de las motoneuronas" (SMN), que se produce a partir del gen *SMN*. En la AME, este gen falta o es defectuoso, por lo que no se produce cantidad suficiente de esta proteína. Esto hace que las motoneuronas dejen de funcionar, provocando que los músculos se debiliten.

¿Cómo funciona Zolgensma?

Zolgensma contiene una copia completa y funcional del gen *SMN*. El gen se administra a las células utilizando un virus modificado que no provoca enfermedad en los seres humanos.



Riesgos de Zolgensma

SI SU HIJO EXPERIMENTA ALGÚN EFECTO ADVERSO, CONSULTE INMEDIATAMENTE AL MÉDICO DE SU HIJO, ENFERMERO U OTRO PROFESIONAL SANITARIO



Antes de ser tratado con Zolgensma, es importante que su hijo tenga un estado de salud general adecuado; de lo contrario, es posible que sea necesario posponer el tratamiento. Esto incluye un nivel adecuado de hidratación, nutrición y ausencia de infección activa.



Problemas hepáticos

Antes de que se administre este medicamento a su hijo, indique al equipo médico que le atiende si tiene o ha tenido algún problema hepático.

Zolgensma puede producir un aumento de las enzimas (las proteínas que se encuentran por el cuerpo) producidas por el hígado.

En algunas circunstancias, Zolgensma puede dañar el hígado de su hijo y afectar a su funcionamiento. El daño hepático puede llegar a ser grave, incluso desencadenarse un fallo hepático o la muerte.

Informe a su médico inmediatamente o busque atención médica urgente si su hijo presenta síntomas de daño hepático, como por ejemplo:

- vómitos,
- ictericia (la piel del cuerpo o el blanco de los ojos se pone de color amarillo),
- disminución del estado de alerta o consciencia de su hijo.

Antes de administrar Zolgensma a su hijo, le realizarán un análisis de sangre para comprobar que su hígado funciona correctamente.

También le realizarán analíticas periódicas hasta al menos tres meses tras la perfusión para monitorizar cualquier cambio en la función hepática. Según el resultado de dichas analíticas y de los signos y síntomas, puede que sean necesarias pruebas adicionales.

Antes de iniciar el tratamiento y durante al menos 2 meses tras la perfusión, su hijo recibirá tratamiento con algún medicamento del tipo corticosteroide (como por ejemplo la prednisolona) para controlar los posibles efectos de Zolgensma en el hígado.

Informe a su médico si su hijo vomita antes o después del tratamiento con Zolgensma, para asegurarse que no vomita la dosis de corticosteroide.



Coagulación anómala

Zolgensma puede aumentar el riesgo de experimentar problemas de coagulación en los vasos sanguíneos pequeños (su término médico es microangiopatía trombótica), que ocurren generalmente en las dos primeras semanas después de la perfusión.

Informe a su médico inmediatamente o busque atención médica urgente si a su hijo:

- le aparecen moratones con facilidad,
- sufre convulsiones (ataques),
- disminuye la producción de orina (moja menos los pañales o va menos al baño).

Debe prestarse mucha atención a estos signos/síntomas, ya que la coagulación sanguínea anómala (microangiopatía trombótica) es grave y puede causar la muerte.

Zolgensma puede bajar el recuento de plaquetas (trombocitopenia). La trombocitopenia ocurre, generalmente, en las tres primeras semanas tras la perfusión. Hable con su médico si observa que, cuando su hijo se golpea o se corta, los hematomas o sangrados duran más de lo normal.

A su hijo se le realizarán análisis de sangre periódicos, durante al menos 3 meses tras la perfusión, para detectar una posible disminución de plaquetas, que son las células encargadas del proceso de coagulación. Dependiendo del resultado de dichos análisis y de otros posibles síntomas/signos, puede que a su hijo se le realicen pruebas adicionales.



Infecciones

Es importante prevenir las infecciones antes y después de administrar Zolgensma, evitando situaciones que pueden aumentar el riesgo de que su hijo sufra una infección. Tanto usted, como las personas cercanas a su hijo, pueden ayudar a prevenir las infecciones siguiendo prácticas como, por ejemplo, una buena higiene de manos, taparse la boca al toser/estornudar, limitar el contacto con otras personas.

Informe al médico de su hijo de inmediato si advierte que el niño presenta signos y síntomas que sugieran una infección, como infección respiratoria (tos, pitos al respirar/falta de aire, estornudos, rinitis, dolor de garganta, fiebre) u otros síntomas compatibles de infección antes de la perfusión ya que es posible que se tenga que retrasar la perfusión hasta que la infección haya desaparecido.

Informe al médico también si dichos síntomas/signos ocurren tras la administración de Zolgensma ya que puede dar lugar a complicaciones que pueden requerir atención médica inmediata.

Datos de contacto del médico

Un equipo de profesionales sanitarios seguirá monitorizando a su hijo tras la perfusión. Si tiene alguna duda y desea hablar con el médico o equipo médico de su hijo, puede utilizar el siguiente formulario para anotar sus datos de contacto:

Nombre	
Cargo	
Número	
e-mail	
Nombre	
Cargo	
Número	
e-mail	
Nombre	
Cargo	
Número	
e-mail	
Nombre	
Cargo	
Número	
e-mail	

Asociaciones locales



Existen numerosos grupos de asociaciones de pacientes en todo el mundo que pueden ayudar a pacientes con AME. Pueden proporcionarle información sobre la atrofia muscular espinal, las investigaciones más recientes y darle apoyo. Hable con el médico o con el equipo médico para que le proporcione información sobre las asociaciones locales.

Para más información, visite la página web de la Fundación Atrofia Muscular Espinal (AME) - FUNDAME

<https://www.fundame.net/>

