

Guía para cuidadores acerca del tratamiento con Zolgensma[®] (onasemnogén abeparvovec) ▼

El médico de su hijo le ha dado esta guía porque a su hijo se le ha recetado Zolgensma[®]. Esta guía tiene como objetivo proporcionar información práctica para respaldar las conversaciones con su médico. Debe leerse junto con el inserto del envase que reciba para este medicamento.

Zolgensma está sujeto a monitoreo adicional para ayudar a identificar rápidamente nuevos efectos secundarios. Si su hijo experimenta efectos secundarios, consulte al médico, enfermero, farmacéutico/ otro profesional de la salud de su hijo. Esto incluye cualquier posible efecto secundario que no esté enumerado en esta guía o en el prospecto del envase.

Si tiene alguna pregunta o inquietud sobre Zolgensma, consulte al médico, enfermero o farmacéutico/otro profesional de la salud de su hijo.

Escanee el código QR
para ver la información de
prescribir



 **NOVARTIS**

Esta guía se creó para proporcionar información útil sobre lo siguiente:

- ¿Qué es la AME?
- ¿Qué es Zolgensma y cómo funciona?
- Información importante de seguridad y posibles efectos secundarios de Zolgensma
- Cada paso del trayecto de tratamiento del Zolgensma

Si tiene alguna pregunta o inquietud sobre este medicamento o la salud y el bienestar de su hijo, consulte al médico, enfermero o farmacéutico/otro profesional de la salud de su hijo.

Contactos útiles

¿Qué contiene esta guía?

Acerca de la AME

- ¿Qué es la AME?
- ¿Cuáles son los diferentes tipos de AME?
- ¿Qué causa la AME?
- ¿Cómo se contrae AME?

Acerca de Zolgensma

- ¿Qué es Zolgensma?
- Zolgensma en la AME avanzada

Comprender los riesgos de Zolgensma

Información importante de seguridad y posibles efectos secundarios de Zolgensma

Tratamiento con Zolgensma

- Antes del tratamiento
- Día del tratamiento
- Después del tratamiento

Cuándo buscar atención médica

Detalles de contacto del médico

Asociaciones locales

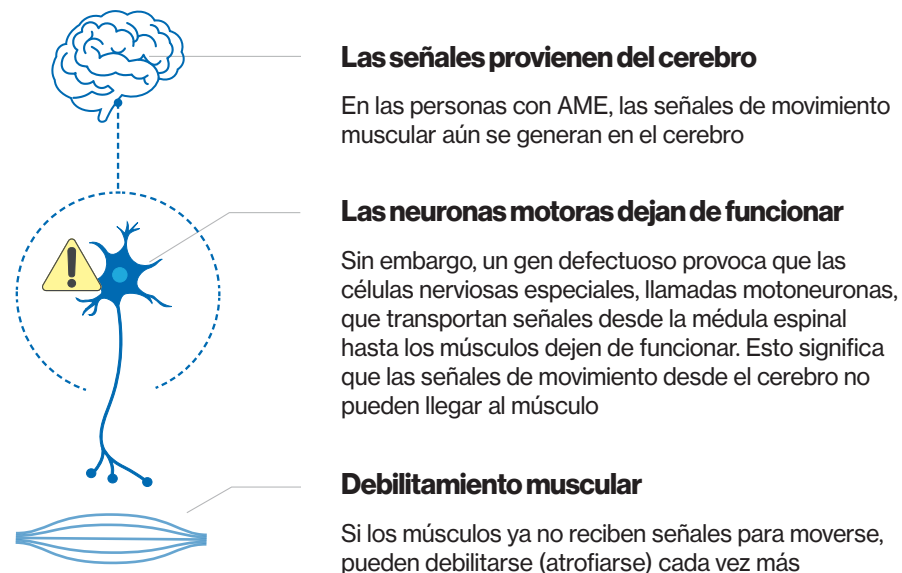
Palabras frecuentes que debe conocer

Encuentre definiciones útiles para los términos utilizados en esta guía

Notas

¿Qué es la AME?

La atrofia muscular espinal (AME) es una enfermedad genética poco frecuente en la que se pierden los nervios lo cual causa debilidad en los músculos. Esto ocurre porque las células nerviosas especiales del cuerpo que controlan el movimiento muscular, llamadas motoneuronas, se deterioran y dejan de funcionar.



La capacidad de pensar, aprender y construir relaciones no cambia en las personas con AME

¿Cuáles son los síntomas de AME?

La AME tiene un rango de síntomas que pueden variar de una persona a otra y en la gravedad. La AME puede afectar las actividades diarias, como respirar, comer, sentarse, gatear y caminar. Cuanto más temprano estén presentes los síntomas de AME, es probable que la enfermedad sea más grave.

¿Cuáles son los diferentes tipos de AME?

En el momento del diagnóstico, las personas con AME pueden clasificarse en tipos según su edad de aparición y capacidad funcional máxima, o "hito motor". Los hitos motores relevantes para comprender el tipo de AME que los niños pueden tener incluyen su capacidad para lo siguiente:



Levantar la cabeza



Tomar algo con la mano



Gatear



Sentarse



Rodar



Pararse y caminar

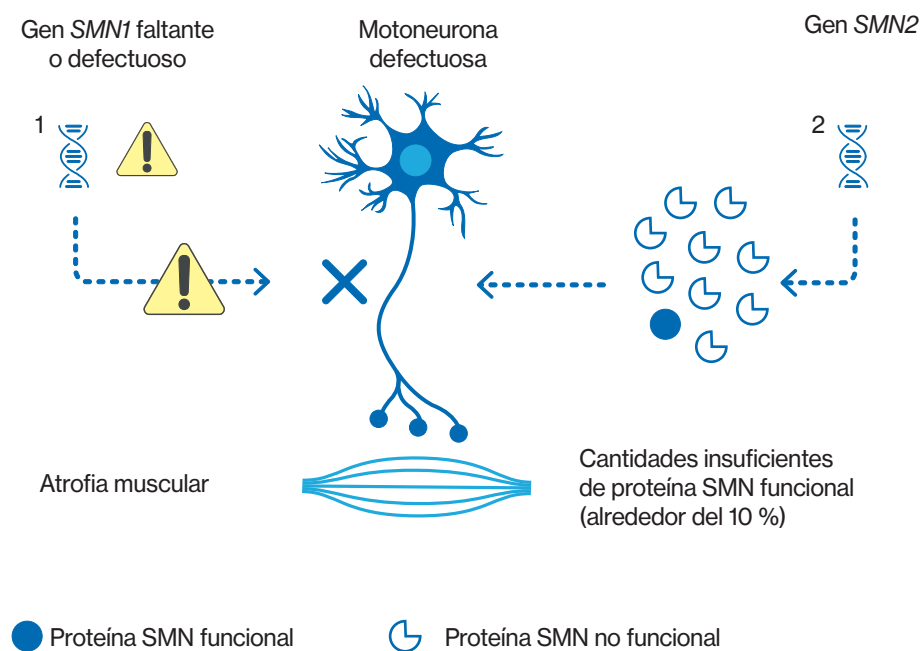
Edad de inicio	Nacimiento	≤6 meses	6-18 meses	>18 meses	≥18 años
Capacidad funcional	El feto podría verse afectado antes del nacimiento	Incapaz de sentarse de manera independiente	Capaz de sentarse, puede estar de pie, incapaz de caminar de manera independiente	Caminar de manera independiente	Independiente entrando en la adultez
Clasificación	AME de tipo 0	AME de tipo 1	AME de tipo 2	AME de tipo 3	AME de tipo 4
Gravedad	Anterior, más grave Más tarde, menos grave				

Sin intervención o tratamiento, los niños con formas más graves de AME tienen una esperanza de vida más corta. Con intervención médica y tratamiento tempranos, el deterioro puede retrasarse, y los niños a menudo pueden alcanzar hitos que rara vez se observan durante el curso natural de la enfermedad.

¿Qué causa la AME?

Una proteína llamada proteína de supervivencia de la motoneurona (SMN) es vital para que las motoneuronas puedan funcionar correctamente. Sin la proteína SMN, las motoneuronas de la médula espinal dejan de funcionar y los músculos se debilitan. La proteína SMN se produce en el cuerpo a partir de los genes *SMN*.

En la AME, el gen principal *SMN*, conocido como *SMN1* es defectuoso o falta. Existe un segundo gen *SMN* conocido como *SMN2* que actúa más como un “respaldo” y solo produce pequeñas cantidades de proteína SMN. En la AME, no se produce suficiente proteína SMN y las motoneuronas dejan de funcionar, lo que hace que los músculos se vuelvan más débiles.

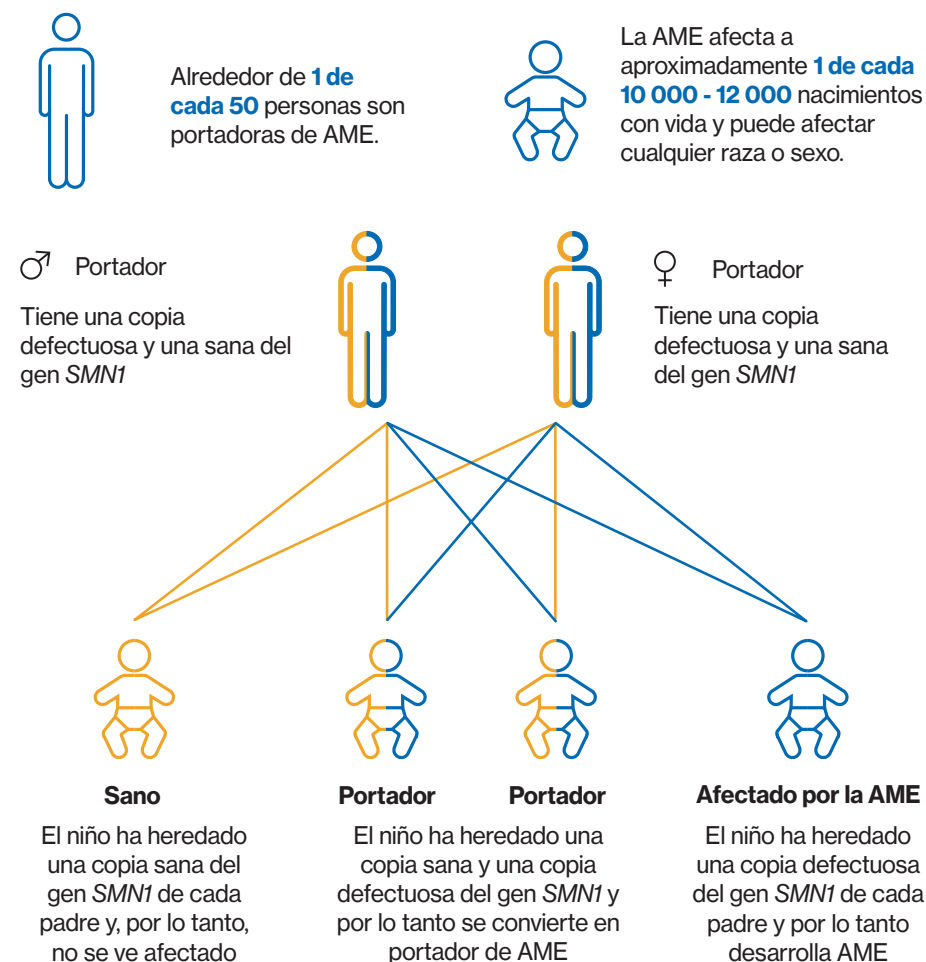


¿Cómo se contrae AME?

La AME generalmente se hereda, aunque ocasionalmente es causada por un error aleatorio en el gen *SMN1*.

Los niños heredan dos copias del gen *SMN1* una copia de cada uno de los padres. La mitad de la información genética del niño proviene de la madre y la otra mitad del padre.

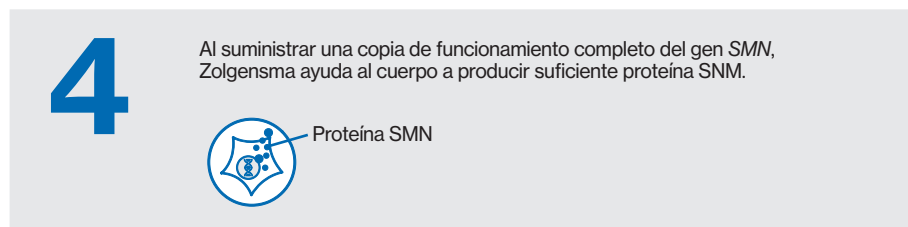
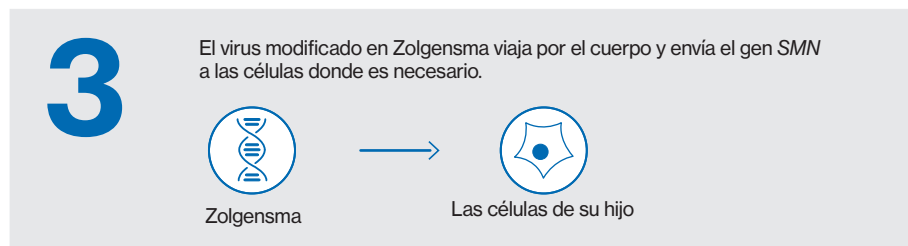
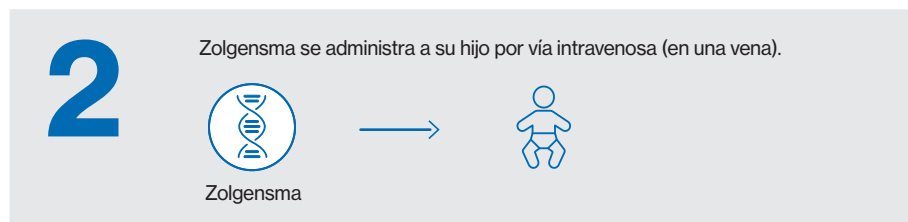
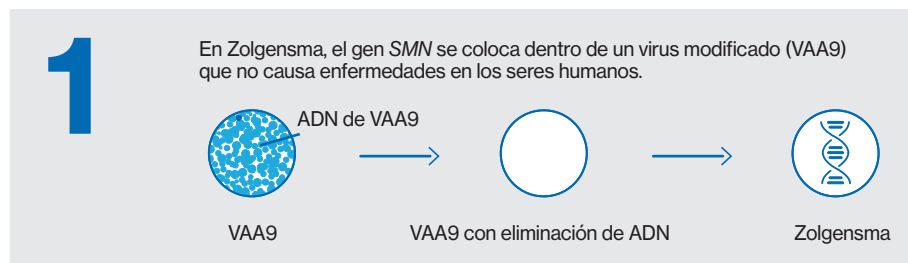
Las personas con un gen *SMN1* sano y uno defectuoso se conocen como portadoras, por lo general, no muestran signos de AME. Si ambos padres son portadores, existe efectivamente un 25 % de probabilidades de que el bebé herede y desarrolle AME.



¿Qué es Zolgensma?

Zolgensma es un tratamiento para bebés y niños pequeños con AME. Zolgensma es un tipo de tratamiento denominado “terapia génica”.

Zolgensma está compuesto por un virus modificado, VAA9, que contiene una copia completamente funcional del gen *SMN* (el gen defectuoso en la AME). El virus VAA9 en Zolgensma se usa para llevar el gen de reemplazo al cuerpo y las células donde se necesite.



Zolgensma en la AME avanzada

Zolgensma puede rescatar las motoneuronas que aún están vivas y son capaces de crecer, pero no las motoneuronas muertas. Los niños con síntomas menos graves de AME pueden tener suficientes motoneuronas vivas para beneficiarse del tratamiento con Zolgensma. Es posible que Zolgensma no funcione tan bien en niños con síntomas graves.

Comprender los riesgos de Zolgensma

Como todos los medicamentos, Zolgensma puede producir efectos secundarios, si bien no afectan a todas las personas.

Si su hijo experimenta efectos secundarios, consulte al médico, enfermero, farmacéutico/otro profesional de la salud de su hijo de inmediato.



Información importante de seguridad y cuándo buscar atención médica



Problemas hepáticos

Informe al equipo médico de su hijo antes de que su hijo reciba este medicamento si su hijo tiene o ha tenido algún problema hepático. En algunos casos, Zolgensma puede causar una respuesta inmunitaria que podría provocar un aumento de las enzimas (proteínas que se encuentran en el cuerpo) producidas por el hígado o una lesión en el hígado.

Las lesiones hepáticas pueden provocar resultados serios incluida la insuficiencia hepática y la muerte. Los posibles signos a los que debe estar atento después de que su hijo reciba este medicamento incluyen vómitos, ictericia (coloración amarillenta de la piel o de la parte blanca de los ojos) o disminución del estado de alerta. Informe al médico de su hijo de inmediato si nota que su hijo desarrolla algún síntoma que sugiera una lesión en el hígado.



Coagulación anormal de la sangre

Zolgensma puede aumentar el riesgo de coagulación anormal de la sangre en vasos sanguíneos pequeños (microangiopatía trombótica), generalmente en el plazo de las primeras 2 semanas después del tratamiento con Zolgensma. Estos coágulos de sangre podrían afectar los riñones de su hijo. Informe a su médico de inmediato si nota signos y síntomas como formación de hematomas con facilidad, convulsiones (ataques) o disminución de la producción de orina.

Se debe prestar mucha atención a estos signos y síntomas, ya que la coagulación sanguínea anormal (microangiopatía trombótica) es seria y puede ser potencialmente mortal si no se trata.



Recuento plaquetario bajo

Zolgensma puede disminuir los recuentos de plaquetas en sangre (trombocitopenia), generalmente al cabo de las primeras 3 semanas después del tratamiento con Zolgensma. Los posibles signos de un recuento bajo de plaquetas en sangre a los que debe estar atento después de que su hijo reciba Zolgensma incluyen moretones o sangrado anormales.

Hable con su médico si observa signos como moretones o sangrado durante más tiempo del habitual si su hijo ha sufrido una lesión.



Aumento de troponina I

Zolgensma puede aumentar los niveles de una proteína cardíaca llamada troponina I que puede indicar una lesión en el corazón. Debe estar atento a posibles signos de problemas cardíacos después de que su hijo reciba Zolgensma, como color de piel gris pálido o azul, dificultad para respirar (p. ej., respiración rápida, falta de aire), hinchazón de los brazos y las piernas o del vientre.

Se le realizarán a su hijo análisis de sangre para controlar la función hepática, la función renal, la cantidad de células sanguíneas (incluidos eritrocitos y plaquetas) y el nivel de troponina I antes del tratamiento con Zolgensma.

Durante al menos 3 meses después del tratamiento, se le realizarán a su hijo análisis de sangre regulares para controlar la función hepática y para monitorear cambios en las plaquetas y los niveles de troponina I. Según los valores y otros signos y síntomas, es posible que se requieran otras evaluaciones. El médico de su hijo decidirá la duración de las pruebas.



Consulte el prospecto del envase incluido con el medicamento de su hijo para obtener más información sobre Zolgensma. No dude en hablar con el equipo médico de su hijo si tiene alguna pregunta.

Comprender los riesgos de Zolgensma

Como todos los medicamentos, Zolgensma puede producir efectos secundarios, si bien no afectan a todas las personas.

Si su hijo experimenta efectos secundarios, consulte al médico, enfermero, farmacéutico/otro profesional de la salud de su hijo de inmediato.



Alergias

Su hijo no debe recibir Zolgensma si es alérgico a cualquiera de los ingredientes (los ingredientes se enumeran en la sección 6 del prospecto del envase incluido con el medicamento de su hijo).



Corticoesteroides

Su hijo también recibirá corticoesteroides (prednisolona o equivalente) durante un tiempo antes y después del tratamiento con Zolgensma. El tiempo que se le administrarán corticoesteroides a su hijo después del tratamiento con Zolgensma variará según los valores de las enzimas hepáticas y otros signos y síntomas, y lo decidirá el médico de su hijo. Este período durará, como mínimo, 2 meses.

Los corticoesteroides ayudarán a controlar cualquier posible aumento de las enzimas hepáticas que su hijo podría desarrollar después de una respuesta inmunitaria a Zolgensma. El médico de su hijo determinará la dosis de corticoesteroides que recibirá su hijo según su peso.

Durante la administración de dosis de corticoesteroides, su hijo puede enfrentar nuevas infecciones u otras enfermedades infantiles habituales que pueden requerir el uso de otros medicamentos. Antes del tratamiento con cualquier otro medicamento, o si tiene alguna pregunta sobre los corticoesteroides, es importante que consulte al médico, enfermero o farmacéutico/otro profesional de la salud de su hijo.



Otros medicamentos y Zolgensma

Zolgensma se administrará a su hijo una sola vez. Informe al médico o enfermero de su hijo si está tomando, ha tomado recientemente o podría tomar cualquier otro medicamento.



Infección

Es posible que su hijo tenga un sistema inmunitario debilitado debido a los corticoesteroides, lo que significa que las infecciones que las personas sanas normalmente pueden combatir pueden enfermarse seriamente a su hijo. Si su hijo desarrolla una infección (p. ej., resfriado, gripe o bronquiolitis) **antes o después** de recibir tratamiento con Zolgensma, esto podría provocar otras complicaciones más serias que podrían requerir atención médica urgente.

Debe informar al médico de su hijo de inmediato si observa que su hijo desarrolla signos y síntomas que sugieran infección **antes o después** del tratamiento con Zolgensma, por ejemplo:

- Tos
- Estornudos
- Dolor de garganta
- Sibilancias
- Goteo nasal
- Fiebre

Es importante prevenir infecciones antes y después del tratamiento con Zolgensma evitando situaciones que puedan aumentar el riesgo de que su hijo contraiga infecciones. Usted y cualquier otra persona en contacto cercano con su hijo pueden ayudar a prevenir infecciones si siguen una buena higiene de manos, un buen protocolo para toser/estornudar y limitando posibles contactos.

Comprender los riesgos de Zolgensma (continuación)

En resumen, busque atención médica urgente si su hijo desarrolla alguno de los siguientes signos o síntomas:



- **Moretones o sangrado** durante más tiempo del habitual si su hijo ha sufrido una lesión; estos pueden ser signos de un recuento bajo de plaquetas en sangre (trombocitopenia)
- **Formación de hematomas con facilidad, convulsiones** (ataques) o **disminución de la producción de orina**; estos pueden ser signos de coagulación anormal de la sangre en vasos sanguíneos pequeños (microangiopatía trombótica). Se debe prestar mucha atención a estos signos y síntomas, ya que la coagulación anormal de la sangre puede ser potencialmente mortal si no se trata
- **Vómitos, ictericia** (coloración amarillenta de la piel o de la parte blanca de los ojos) o **disminución del estado de alerta**: estos pueden ser signos de posibles problemas hepáticos (incluida insuficiencia hepática)
- **Color de piel gris o azul pálido, dificultad para respirar** (p. ej., respiración rápida, falta de aire): **hinchazón de los brazos y las piernas o del vientre** estos pueden ser signos de posibles problemas cardíacos
- **Tos, sibilancias, estornudos, secreción nasal, dolor de garganta o fiebre**: estos pueden ser signos de infección (p. ej., resfriado, gripe o bronquiolitis)

Tratamiento con Zolgensma

Los pasos de las siguientes páginas lo ayudarán a usted y a su familia a comprender qué esperar a continuación



1. Antes del tratamiento

Para ayudar a decidir si Zolgensma es adecuado para su hijo, el médico de su hijo realizará pruebas para detectar anticuerpos antes del tratamiento.



Prueba de anticuerpos VAA9 (o AAV9, por sus siglas en inglés)

Los anticuerpos son producidos por el sistema inmunitario del cuerpo para ayudar a protegerlo contra enfermedades. La presencia de ciertos anticuerpos, llamados anticuerpos contra el VAA9, puede hacer que su hijo tenga una respuesta inmunitaria a Zolgensma. Para ayudar a decidir si Zolgensma es adecuado para su hijo, el médico de su hijo realizará pruebas para detectar anticuerpos antes del tratamiento.

Es posible que su hijo presente aumentos de los anticuerpos contra el VAA9. Si el bebé es recién nacido, es posible que sean anticuerpos que transferidos de la madre al bebé durante el embarazo, y estos aumentos a menudo disminuirán con el tiempo después del nacimiento. Si su hijo presenta aumentos de los anticuerpos contra el VAA9 después de su primer análisis, será elegible para repetir el análisis después de un tiempo. Si tiene alguna pregunta, consulte al médico de su hijo.



Análisis de sangre

Antes del tratamiento con Zolgensma, se le realizarán a su hijo análisis de sangre para verificar y establecer los niveles iniciales para lo siguiente:

- Función hepática
- Función renal
- La cantidad de glóbulos sanguíneos (incluidos eritrocitos y plaquetas)
- Concentración de troponina I

Estas mediciones ayudarán a su médico a monitorear las concentraciones de su hijo después del tratamiento con Zolgensma.



Corticoesteroides

Venticuatro horas antes de recibir tratamiento con Zolgensma, su hijo recibirá corticoesteroides (prednisolona o equivalente) para controlar posibles aumentos de las enzimas hepáticas.

El médico de su hijo determinará la dosis de corticoesteroides que recibirá su hijo según su peso. Para asegurarse de que su hijo no omita la administración de corticoesteroides, informe al médico, enfermero o farmacéutico/otro profesional de la salud de su hijo en caso de vómitos antes del tratamiento con Zolgensma.



Infección.

Es importante que informe de inmediato al médico, enfermero o farmacéutico/otro profesional de la salud de su hijo si su hijo presenta síntomas que sugieran una infección **antes o después de** Zolgensma. Si su hijo desarrolla signos y síntomas que sugieran infección antes del tratamiento con Zolgensma, es posible que la infusión deba retrasarse hasta que se resuelva la infección. Si su hijo desarrolla síntomas después del tratamiento con Zolgensma, esto puede provocar complicaciones médicas que pueden requerir atención médica urgente.

[Consulte la página 13 para conocer los signos de una posible infección.](#)



Salud general

Antes de recibir tratamiento con Zolgensma, es importante que la salud general de su hijo sea adecuada; de lo contrario, es posible que el tratamiento deba posponerse. Esto incluye estar hidratado, tener una buena nutrición y no tener infecciones activas. Si tiene alguna inquietud sobre la salud general de su hijo antes del tratamiento con Zolgensma, hable con el médico, enfermero o farmacéutico/otro profesional de la salud de su hijo.

2. Día del tratamiento

El equipo médico de su hijo se asegurará de que sepa exactamente qué esperar el día del tratamiento y cómo prepararse.



Prednisolona

La primera dosis de corticoesteroides (prednisolona o equivalente) se le habrá administrado a su hijo 24 horas antes de recibir tratamiento con Zolgensma. [Consulte la página 17 para obtener información sobre la administración de corticoesteroides antes del tratamiento con Zolgensma](#)

El día del tratamiento, su hijo recibirá su segunda dosis de corticoesteroides orales (prednisolona o equivalente) según lo recetado. El régimen de administración de dosis de corticoesteroides es importante para tratar posibles aumentos de las enzimas hepáticas y continuará durante un tiempo después del tratamiento. [Consulte la página 21 para obtener información sobre la administración de corticoesteroides después del tratamiento con Zolgensma](#)

Para asegurarse de que su hijo no omita la administración de corticoesteroides, informe al médico, enfermero o farmacéutico/otro profesional de la salud de su hijo en caso de vómitos después de la administración de corticoesteroides.



Zolgensma se administrará a su hijo solo UNA VEZ.



Infusión de Zolgensma

Zolgensma se le administrará a su hijo mediante una única infusión intravenosa. Esto implica colocar un catéter (tubo de plástico) en una de las venas de su hijo usando una aguja. También se insertará un catéter secundario de respaldo en caso de bloqueo en el catéter primario. La infusión será administrada por un médico o enfermero capacitado en el manejo de la AME. La infusión durará alrededor de 60 minutos.

El médico de su hijo determinará la cantidad de Zolgensma que recibirá su hijo según su peso.

3. Después del tratamiento

El médico de su hijo decidirá la duración de la hospitalización después del tratamiento con Zolgensma. No dude en consultar al equipo médico de su hijo si tiene alguna pregunta.



Posibles efectos secundarios

Como todos los medicamentos, este medicamento puede producir efectos secundarios, si bien no afectan a todas las personas.

Busque atención médica urgente si su hijo desarrolla alguno de los siguientes efectos secundarios o síntomas serios



- **Moretones o sangrado** durante más tiempo del habitual si su hijo ha sufrido una lesión; estos pueden ser signos de un recuento bajo de plaquetas en sangre (trombocitopenia)
- **Formación de hematomas con facilidad, convulsiones** (ataques) o **disminución de la producción de orina**; estos pueden ser signos de coagulación anormal de la sangre en vasos sanguíneos pequeños (microangiopatía trombótica). Se debe prestar mucha atención a estos signos y síntomas, ya que la coagulación anormal de la sangre puede ser potencialmente mortal si no se trata.
- **Vómitos, ictericia** (coloración amarillenta de la piel o de la parte blanca de los ojos) o **disminución del estado de alerta**; estos pueden ser signos de posibles problemas hepáticos (incluida insuficiencia hepática)
- **Color de piel gris o azul pálido, dificultad para respirar** (p. ej., respiración rápida, falta de aire): **hinchazón de los brazos y las piernas o del vientre** estos pueden ser signos de posibles problemas cardíacos
- **Tos, sibilancias, estornudos, secreción nasal, dolor de garganta o fiebre**; estos pueden ser signos de infección (p. ej., resfriado, gripe o bronquiolitis)

3. Después del tratamiento *(continuación)*

Consulte al equipo médico de su hijo de inmediato si su hijo desarrolla otros efectos secundarios. Estos pueden incluir:

Muy frecuentes (pueden afectar a más de 1 de cada 10 personas)

- Aumentos en las enzimas hepáticas observados en los análisis de sangre

Frecuentes (pueden afectar hasta 1 de cada 10 personas)

- Vómitos
- Fiebre

Notificación de efectos secundarios:

Si su hijo experimenta efectos secundarios o le preocupa que algo pueda estar mal, consulte al médico, enfermero o farmacéutico/otro profesional de la salud de su hijo de inmediato.

Esto incluye cualquier posible efecto secundario mencionado o no mencionado en esta guía o en el inserto incluido con el medicamento de su hijo.

También puede notificar los efectos secundarios directamente a través de su sistema nacional de notificación. Si informa efectos secundarios, puede ayudar a brindar más información sobre la seguridad de este medicamento.



Administración de corticoesteroides después de Zolgensma

Su hijo recibirá tratamiento con corticoesteroides diariamente durante al menos 2 meses después de recibir Zolgensma. Este período puede prolongarse si las enzimas hepáticas de su hijo no disminuyen lo suficientemente rápido, hasta que disminuyan a un nivel aceptable. La dosis de corticoesteroides administrada a su hijo se reducirá lentamente durante este tiempo hasta que el tratamiento pueda interrumpirse por completo.

El equipo médico de su hijo decidirá y explicará cuándo y cómo interrumpirá este tratamiento para su hijo. Para asegurarse de que su hijo no omita la administración de corticoesteroides, informe al médico, enfermero o farmacéutico/otro profesional de la salud de su hijo en caso de vómitos o de dosis omitidas **(por cualquier motivo)** después del tratamiento con Zolgensma. **No interrumpa el tratamiento con corticoesteroides antes de analizarlo con el médico, enfermero o farmacéutico/otro profesional de la salud de su hijo**

Si tiene alguna pregunta sobre los corticoesteroides, consulte al médico, enfermero o farmacéutico/otro profesional de la salud de su hijo



3. Después del tratamiento *(continuación)*



Seguimientos regulares

Después del tratamiento con Zolgensma, su hijo continuará bajo la supervisión regular de un equipo de atención médica dedicado. Su hijo requerirá visitas de seguimiento según sea necesario, ya sea para controles generales, si su hijo está experimentando efectos secundarios o si tiene alguna inquietud o pregunta.

Es necesario el estándar de atención adecuado para los pacientes con AME, incluida la atención complementaria, y esta será proporcionada. Es importante analizar con el médico de su hijo cómo el equipo de atención médica continuará brindándole apoyo a su hijo.

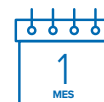


Análisis de sangre regulares

Después del tratamiento con Zolgensma, se le realizarán a su hijo análisis de sangre regulares para verificar lo siguiente:

- Función hepática: estas pruebas se realizarán durante al menos 3 meses después del tratamiento para monitorear aumentos de enzimas hepáticas. Si la función hepática de su hijo empeora después del tratamiento con Zolgensma, o muestra algún signo de enfermedad, su médico lo evaluará y le realizará un seguimiento riguroso.
- Recuento de plaquetas en sangre y troponina I: estos se realizarán durante un tiempo después del tratamiento para monitorear cambios en plaquetas y niveles de troponina I.

Según los resultados de estos análisis de sangre, así como otros signos y síntomas, es posible que se requieran más pruebas. Es importante seguir rigurosamente el cronograma de análisis de sangre e informar de inmediato al equipo médico de su hijo todos los signos y síntomas que su hijo pueda desarrollar después de recibir tratamiento.



Manejo de los desechos corporales de su hijo

Parte del principio activo de Zolgensma puede excretarse a través de los desechos corporales de su hijo después del tratamiento. Usted y otras personas que cuidan a su hijo deben seguir buenos procedimientos de higiene como se describe a continuación durante **al menos 1 mes** después del tratamiento de su hijo con Zolgensma



Use guantes protectores cuando entre en contacto directo con los líquidos corporales (orina) o los desechos (heces) de su hijo



Lávese bien las manos después con agua corriente tibia y jabón o con un gel hidroalcohólico para las manos



Use bolsas de plástico dobles para desechar pañales sucios y otros desechos. Los pañales desechables igualmente pueden desecharse en los residuos domésticos

Si tiene preguntas sobre cómo manejar los desechos corporales de su hijo, consulte al médico, enfermero o farmacéutico/otro profesional de la salud de su hijo.

3. Después del tratamiento (continuación)

Atención complementaria

Si bien Zolgensma aporta una copia del gen SMN de funcionamiento completo, su hijo aún tiene AME.

Las terapias complementarias adicionales utilizadas para atender a las personas con AME incluyen:



Tratamientos
ortopédicos



Fisioterapia



Apoyo con la nutrición,
comidas y bebidas



Apoyo respiratorio,
p. ej., con una máscara
para dormir



Prevención de infecciones
de las vías respiratorias
(p. ej., prevención de la gripe y
la neumonía con vacunas)



Eliminación de
secreciones de las
vías respiratorias

El equipo de atención médica de su hijo trabajará con usted para garantizar que se gestionen las necesidades de atención de apoyo de su hijo



Cuándo buscar atención médica

Buscar atención médica urgente en cualquiera de las siguientes circunstancias:



En algunos casos, Zolgensma puede afectar la función del hígado y provocar lesiones hepáticas. Los posibles signos a los que debe estar atento después de que su hijo reciba este medicamento incluyen **vómitos**, **ictericia** (coloración amarillenta de la piel o de la parte blanca de los ojos) o **disminución del estado de alerta**

Zolgensma puede disminuir el recuento de plaquetas en sangre (trombocitopenia). Hable con su médico si observa signos como **moretones** o **sangrado** durante más tiempo del habitual si su hijo ha sufrido una lesión

Zolgensma puede aumentar el riesgo de coagulación anormal de la sangre en vasos sanguíneos pequeños (microangiopatía trombótica). Informe a su médico de inmediato si observa signos y síntomas como **formación de hematomas con facilidad**, **convulsiones** (ataques) o **disminución de la producción de orina**

Zolgensma puede aumentar los niveles de una proteína cardíaca específica denominada “troponina I” que puede indicar una lesión en el corazón. Hable con su médico de inmediato si observa signos y síntomas como **color gris pálido o azulado de la piel**, **dificultad para respirar** (p. ej., respiración rápida, falta de aire) o hinchazón de los brazos y las piernas o del vientre.

Informe a su médico en caso de **vómitos antes o después del tratamiento** con Zolgensma, para asegurarse de que su hijo no omita la administración de corticoesteroides (prednisolona o equivalente).

Informe a su médico de inmediato si su hijo desarrolla algún signo y síntoma que sugiera infección (p. ej., resfriado, gripe o bronquiolitis) **antes o después** de recibir tratamiento con Zolgensma, ya que esto podría provocar otras complicaciones más serias que podrían requerir atención médica urgente. Los signos a los que debe estar atento son **tos**, **sibilancias**, **estornudos**, **secreción nasal**, **dolor de garganta** o **fiebre**

Detalles de contacto del médico

Un equipo de profesionales de la salud continuará monitoreando a su hijo después de la infusión de Zolgensma. Si tiene alguna inquietud y desea hablar con el médico o el equipo de atención médica de su hijo, puede usar el siguiente formulario para anotar sus datos de contacto.

Nombre:

Función:

Número de contacto:

Correo electrónico de contacto:

Nombre:

Función:

Número de contacto:

Correo electrónico de contacto:

Nombre:

Función:

Número de contacto:

Correo electrónico de contacto:

Nombre:

Función:

Número de contacto:

Correo electrónico de contacto:

Nombre:

Función:

Número de contacto:

Correo electrónico de contacto:

Nombre:

Función:

Número de contacto:

Correo electrónico de contacto:

Asociaciones locales



Hay numerosos grupos de asociaciones de pacientes en todo el mundo que pueden ayudar a apoyarlo a usted y a su hijo con AME. Pueden proporcionar información sobre la AME, la investigación más reciente y el apoyo comunitario. Hable con el médico o el equipo de atención médica de su hijo, quienes pueden informarle acerca de los grupos más cercanos para usted.

Espacio para tomar nota de la información que le brinde su médico

Palabras frecuentes que debe conocer

Ácido desoxirribonucleico (ADN)

El ADN (ácido desoxirribonucleico) es el material hereditario en los seres humanos y casi todos los demás organismos. Casi todas las células del cuerpo de una persona tienen el mismo ADN.

Anticuerpos

Los anticuerpos son producidos por el sistema inmunitario del cuerpo para ayudar a protegerlo contra enfermedades. Cada tipo de anticuerpo es único y defiende al cuerpo contra un tipo específico de enfermedad.

Atrofia

Atrofia significa desperdiciar o reducir. Por ejemplo, un músculo que se desgasta se denomina músculo atrofiado.

Atrofia muscular espinal (AME)

La AME es una enfermedad poco frecuente que hace que los músculos se debiliten gradualmente porque las células nerviosas especializadas del cuerpo que controlan el movimiento muscular, llamadas motoneuronas, dejan de funcionar. Las motoneuronas se deterioran y dejan de funcionar porque no tienen suficiente proteína SMN.

Corticoesteroides

Los corticoesteroides son un tipo de medicamento que suprime el sistema inmunitario a fin de tratar de ayudar a controlar cualquier posible aumento de las enzimas hepáticas después del tratamiento con Zolgensma.

Efecto secundario

Un efecto secundario es un efecto colateral y generalmente no deseado de un medicamento.

Enfermedad genética

Una afección médica causada por un gen o genes defectuosos o faltantes. Las enfermedades genéticas son hereditarias. La AME es un ejemplo de una enfermedad genética.

Gen *SMN1*

El gen *SMN1* es el gen *SMN* principal, que produce la proteína SMN que las motoneuronas necesitan para funcionar correctamente. En personas con AME, ambas copias de este gen son defectuosas o faltan. Esto significa que las células del cuerpo no puedan producir suficiente proteína SMN.

Gen *SMN2*

El gen *SMN2* actúa como un “respaldo” para apoyar la producción de proteínas SMN. La *SMN2* solo produce pequeñas cantidades de proteína SMN funcional.

Genes

Los genes con conjuntos de instrucciones que pueden indicarle al cuerpo cómo producir proteínas. Los genes vienen en pares; una copia heredada de cada padre.

Infusión intravenosa

Infusión en una vena con un catéter (tubo de plástico), que se inserta en la vena con una aguja.

Motoneurona

Estas células nerviosas transportan señales desde el cerebro hasta los músculos para controlar el movimiento.

Existen dos tipos de motoneuronas: las motoneuronas superiores que transportan señales desde el cerebro hasta el tronco encefálico y la médula espinal, y las motoneuronas inferiores que transportan señales desde las motoneuronas superiores hasta los músculos.

Plaquetas

Un tipo de célula que se encuentra en la sangre, que es responsable de la coagulación de la sangre.

Prednisolona

La prednisolona es un tipo de medicamento llamado corticoesteroide, que ayuda a controlar cualquier posible aumento de las enzimas hepáticas después del tratamiento con Zolgensma.

Proteína de supervivencia de las motoneuronas (SMN)

La proteína de SMN es vital para que las motoneuronas funcionen correctamente y sobrevivan. Sin suficiente proteína de SMN, las motoneuronas se deterioran y dejan de funcionar. La proteína de SMN es producida por el cuerpo a partir del gen *SMN*.

Proteínas

Las proteínas son moléculas importantes involucradas en casi todas las funciones del cuerpo. Las proteínas ayudan a construir las células del cuerpo, mientras que también ayudan a las células a transportar y producir sustancias importantes, reparar y sobrevivir.

Terapia génica

La terapia génica es una forma de tratar o prevenir la progresión de una enfermedad mediante el uso de genes. Existen diferentes tipos de terapia génica que funcionan de diferentes maneras. Estas incluyen reemplazar o reparar genes faltantes o defectuosos; agregar un nuevo gen que pueda ayudar a otro medicamento a funcionar mejor; o detener las instrucciones de un gen que está produciendo demasiada proteína que luego se vuelve tóxica para el cuerpo.

Tronco encefálico

El tronco encefálico es una parte del cerebro que apoya las funciones críticas del cuerpo, incluida la respiración y el sueño. El tronco encefálico une la médula espinal con el resto del cerebro.

Virus adenoasociado 9 (VAA9)

El virus adenoasociado 9 (VAA9) es un tipo de virus. El VAA9 se puede modificar para que no cause enfermedades en los seres humanos. En Zolgensma, el VAA9 modificado es el vector que se usa para administrar la copia de funcionamiento completo del gen *SMN*.

Notas

Referencias:

1. Novartis. (2023). Plan europeo de gestión de riesgos de seguridad, versión 3.0: OAV101/onasemnogén abeparvovec (Zolgensma®) [versión 3.0]. Novartis Europharm Limited.
2. Novartis Pharma AG. (2024). Zolgensma® (onasemnogén abeparvovec): Inserto aprobado para Costa Rica (versión basada en SmPC EMA, 27 de noviembre de 2023). Fecha de entrada en vigor: 25 de marzo de 2024.

Para uso exclusivo de los profesionales de la salud

Dirijase al siguiente link para visualizar la información del importador:

<https://www.novartis.com/acc-es/informacion-del-importador>

Para visualizar la información del importador escanee el siguiente código QR



Ver información de las fichas técnicas/ información de prescripción de los productos aquí:

<https://www.novartis.com/acc-es/ficha-tecnica-informacion-de-prescripcion>

"Para acceder a la declaración sucinta del producto escanee el código QR y asegúrese de seleccionar el producto que contenga este material. En caso de no poder visualizar la declaración sucinta del producto solicítela por medio del siguiente correo: informacion.medica@novartis.com"



Para más información favor dirigirse al área de Información Médica de Novartis: Centroamérica: informacion.medica@novartis.com

Para Costa Rica: "Toda sospecha de reacción adversa y falla terapéutica se debe notificar al Centro Nacional de Farmacovigilancia (CNFV) en los formularios y plazos establecidos en la normativa vigente."

FA-11385965. Fecha de expiración: 24/06/2027.