# Guía para profesionales de atención médica para reducir los riesgos con Zolgensma®▼ (onasemnogén abeparvovec)

Este folleto ha sido desarrollado para apoyar a los profesionales de la salud que se espera que receten, entreguen y administren Zolgensma. El folleto tiene como objetivo orientar sobre las áreas de seguridad clave relacionadas con la hepatotoxicidad y la microangiopatía trombótica con Zolgensma y ayudar a mitigar los posibles riesgos antes, durante y después del tratamiento. El folleto debe leerse junto con el folleto de información al profesional de la salud (FIP).

## Zolgensma está indicado para el tratamiento en los siguientes casos:

- El tratamiento de pacientes pediátricos menores de 2 años aquejados de atrofia muscular espinal (AME) con mutación bialélica en el gen de supervivencia motoneuronal 1 (SMN1).

El tratamiento con Zolgensma debe administrarse en centros clínicos y debe ser supervisado por un médico con experiencia en el manejo de pacientes con AME.

▼ Este producto medicinal está sujeto a monitoreo adicional. Esto permitirá una identificación rápida de la información de seguridad nueva. Se pide a los profesionales de la salud que notifiquen cualquier sospecha de reacción adversa

**Si tiene alguna pregunta o inquietud sobre Zolgensma, hable con su representante de Novartis.**

AME: atrofia muscular espinal; SMN: supervivencia de las motoneuronas; FIP: folleto de información al profesional de la salud .

NOVARTIS

**Gracias por tomarse el tiempo para leer esta guía. Este documento se ha desarrollado para ayudar a mitigar los posibles riesgos antes del inicio del tratamiento con Zolgensma, en el momento de la infusión y después de la infusión, proporcionando una guía que se centra en las siguientes áreas de interés en cuanto a la seguridad:**

- **Hepatotoxicidad**
- **Microangiopatía trombótica**

Si tiene alguna pregunta o inquietud sobre este medicamento, consulte el RCP o hable con su representante de Novartis.

## Contactos útiles

RCP: Resumen de características del producto

# ¿Qué contiene esta guía?


**Comprender los posibles riesgos de Zolgensma** 4

- Hepatotoxicidad 4
- Microangiopatía trombótica 4
- Advertencias adicionales 5

**Mitigación de los posibles riesgos con Zolgensma** 6

- Antes del inicio del tratamiento 6
- En el momento de la infusión 10
- Después de la infusión y monitoreo 13

**Cronograma de análisis de sangre** 16

**Lista de control resumida** 19

# Comprender los posibles riesgos de Zolgensma

## Información importante de seguridad

**A continuación, se describen los riesgos importantes identificados después del tratamiento con Zolgensma. Consulte el RCP para obtener información de prescripción y seguridad completas, ya que existen otras advertencias y precauciones para Zolgensma.**

### Hepatotoxicidad

La hepatotoxicidad inmunitaria después del tratamiento con Zolgensma generalmente se manifiesta como aumento en los niveles de alanina aminotransferasa (ALT) o aspartato aminotransferasa (AST).

Se han informado lesiones hepáticas serias agudas e insuficiencia hepática aguda, incluidos casos mortales, después del tratamiento con Zolgensma. Esto ocurre típicamente en el plazo de los 2 meses posteriores al tratamiento y a pesar de recibir corticoesteroides antes y después de la infusión.

La hepatotoxicidad puede requerir el ajuste del régimen inmunomodulador, incluida una mayor duración, aumento de la dosis o prolongación de la disminución gradual de los corticoesteroides.

### Microangiopatía trombótica

Zolgensma puede aumentar el riesgo de microangiopatía trombótica (MAT), generalmente en las primeras 2 semanas después del tratamiento.

La MAT es una afección aguda y potencialmente mortal, caracterizada por trombocitopenia, anemia hemolítica microangiopática y lesión renal aguda. Se han observado resultados mortales con el tratamiento con Zolgensma. La activación concomitante del sistema inmunitario (p. ej., por infecciones, vacunas) también se ha informado como un posible desencadenante.

Si los pacientes muestran signos clínicos, síntomas o datos de laboratorio congruentes con MAT, se debe consultar de inmediato a un especialista para manejar la MAT según esté clínicamente indicado.

**Consulte el FIP para obtener más información sobre las advertencias y precauciones de uso del Zolgensma.**

**Las advertencias y precauciones adicionales asociadas al Zolgensma incluyen, entre otras, las siguientes:**

- **Trombocitopenia**
  - Se observaron disminuciones transitorias en los recuentos de plaquetas, algunas de las cuales cumplieron con los criterios de trombocitopenia, en estudios clínicos de Zolgensma.
- **Aumento de la troponina I**
  - Se han observado aumentos en los niveles de troponina I cardíaca después de la infusión de Zolgensma.

**Tenga en cuenta que las advertencias y precauciones adicionales asociadas a Zolgensma no se limitan a las identificadas en esta guía. Consulte el folleto de información al profesional de la salud (FIP). o a su representante de Novartis para obtener información completa sobre la seguridad de Zolgensma**

ALT: alanina aminotransferasa; AST: aspartato aminotransferasa; ; MAT: microangiopatía trombótica.

FIP: folleto de información al profesional de la salud.

# Mitigación de los posibles riesgos con Zolgensma

## 1. Antes del inicio del tratamiento

**Informar a los cuidadores sobre los principales riesgos asociados a Zolgensma y sus signos y síntomas, incluidos, entre otros, MAT, insuficiencia hepática y trombocitopenia**

### Análisis de sangre

La formación de anticuerpos contra el virus adenoasociado serotipo 9 (VAA9) puede ocurrir después de la exposición natural.

**Los pacientes deben someterse a un análisis para detectar la presencia de anticuerpos VAA9 antes del tratamiento utilizando un ensayo adecuadamente validado.**

**Aún se desconoce si Zolgensma puede administrarse en forma segura y eficaz o en qué condiciones en presencia de anticuerpos contra el VAA9 por encima de 1:50. Se pueden realizar nuevas pruebas si los títulos de anticuerpos contra el VAA9* se informan como superiores a 1:50.**

Antes de la administración de Zolgensma, también se requieren análisis de laboratorio iniciales para lo siguiente, entre otros:

- Función hepática: AST, ALT, billirrubina total, albúmina, tiempo de protrombina, tiempo parcial de tromboplastina (TPT) y relación normalizada internacional (INR)
- Creatinina
- Hemograma completo (incluido el recuento de hemoglobina y plaquetas)
- Troponina I

Se requieren análisis de sangre con regularidad durante al menos 3 meses después de la infusión de Zolgensma. Consulte las páginas 16 a 18 de esta guía para obtener un cronograma detallado de análisis de sangre.

VAA9*: virus adenoasociado serotipo 9 (o AAV9, por sus siglas en inglés); ALT: alanina aminotransferasa; AST: aspartato aminotransferasa; INR: relación normalizada internacional; TPT: tiempo parcial de tromboplastina; MAT: microangiopatía trombótica.

**Informar a los cuidadores sobre la necesidad de la obtención de muestras de sangre con regularidad.**

Se debe informar a los cuidadores que se requerirán análisis de sangre durante al menos 3 meses después del tratamiento con Zolgensma. El cumplimiento del cronograma de monitoreo de análisis de sangre es importante para obtener los mejores resultados para el paciente. Las fechas y horas de las citas para los análisis de sangre deben acordarse y reservarse antes del tratamiento.

### Administración de la dosis de corticoesteroides

Se producirá una respuesta inmunitaria a la cápside del VAA9 después de la administración de ZOLGENSMA que dará lugar a lo siguiente:

Elevaciones de las aminotransferasas hepáticas

Elevaciones de la troponina I

Disminución del recuento plaquetario

Para amortiguar la respuesta inmunitaria, se recomienda la inmunomodulación con corticoesteroides

**24 horas antes de la infusión de Zolgensma, se recomienda iniciar un régimen de corticoesteroides.** Se recomienda la siguiente receta inicial:

**Prednisolona oral 1 mg/kg/día (o equivalente si se usa otro corticoesteroides.**

**Informar a los cuidadores sobre la importancia de los medicamentos con corticoesteroides.**

Informar al cuidador sobre la urgencia de informar sobre cualquier caso de vómitos, para asegurarse de que el paciente no omita la administración de dosis de corticoesteroides.

VAA9: virus adenoasociado serotipo 9.

# Mitigación de los posibles riesgos con Zolgensma

## 1. Antes del inicio del tratamiento *(continuación)*

### Salud general

Debido al aumento del riesgo de respuesta inmunitaria sistémica seria, se recomienda que los pacientes estén clínicamente estables en su estado de salud general, incluida la hidratación y el estado nutricional y ausencia de infección.

**Informar a los cuidadores sobre la necesidad de una mayor vigilancia en la prevención, el monitoreo y el manejo de la infección antes y después de la infusión de Zolgensma**

El cuidador debe hacer lo siguiente:

- Estar informado de los signos y síntomas que sugieran una infección. Si el paciente muestra signos y síntomas, debe comunicarse con usted de manera urgente.
- Ayudar a prevenir infecciones al evitar situaciones que pueden aumentar el riesgo de que el paciente contraiga infecciones, como practicar una buena higiene de manos, un buen protocolo para toser/estornudar y limitar los posibles contactos.
- Informar a los cuidadores/padres sobre el posible riesgo de infección como parte de la circuncisión y recomendar la realizarla en un entorno médico para minimizar el riesgo de infecciones.

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

### Cronograma de vacunación

Antes del inicio del tratamiento, se debe evaluar el cronograma de vacunación del paciente.

Cuando sea posible, se debe ajustar el cronograma de vacunación para adaptarlo a la administración concomitante de corticoesteroides antes y después de la infusión de Zolgensma.

Se recomienda la profilaxis contra el virus respiratorio sincicial (VRS) estacional, que debe estar actualizada. Las vacunas elaboradas con microorganismos vivos, como sarampión, paperas y rubéola (MMR) y varicela, no deben administrarse a pacientes que reciben una dosis inmunosupresora de esteroides.

### Peso

Los pacientes recibirán una dosis nominal de 1,1 x $10^{14}$ gv/kg de Zolgensma. El volumen total de Zolgensma que recibirá el paciente se determina según su peso. Se debe pesar al paciente antes del tratamiento para garantizar que reciba la dosis correcta

MMR: sarampión, paperas y rubéola; VRS: virus respiratorio sincicial.

# Mitigación de los posibles riesgos con Zolgensma

## 2. Al momento de la infusión

### Salud general

**Verificar que el estado de salud general del paciente sea adecuado para la infusión (p. ej., resolución de infecciones) o si se justifica una postergación.**

El tratamiento no debe iniciarse de manera concomitante con infecciones activas, ya sean agudas (como infecciones respiratorias agudas o hepatitis aguda) o crónicas no controladas (como hepatitis B activa crónica), hasta que la infección se haya resuelto. Si el paciente muestra signos o síntomas que sugieran infección, se debe posponer el tratamiento.

**En caso de infecciones activas agudas o crónicas no controladas, se debe posponer el tratamiento hasta que la infección se resuelva y el paciente esté clínicamente estable.**

### Peso del paciente

La administración de dosis de Zolgensma se basa en el peso

Si hay un retraso entre el pedido de Zolgensma y la infusión, es posible que se deba volver a pesar al paciente para garantizar la exactitud de la dosis de Zolgensma.

**Comuníquese con Novartis de inmediato si le preocupa un cambio en el peso del paciente desde que ordenó la dosis de Zolgensma.**

### Administración de la dosis de corticoesteroides

**Verificar si el tratamiento con corticoesteroides comenzó 24 horas antes de la infusión de Zolgensma**

Para amortiguar la respuesta inmunitaria, el paciente debe haber comenzado su régimen inmunomodulador con corticoesteroides, con la primera dosis administrada 24 horas antes del tratamiento con Zolgensma. El día del tratamiento con Zolgensma, el paciente debe continuar con el régimen y recibir la siguiente dosis de corticoesteroides:

**Prednisolona oral 1 mg/kg/día (o equivalente si se usa otro corticoesteroides)**

El régimen inmunomodulador debe continuarse durante 30 días (incluido el día de la administración de Zolgensma), seguido de un período de reducción de 28 días como mínimo. Consulte la página 13 para conocer la administración de dosis de corticoesteroides después de la infusión

# Mitigación de los posibles riesgos con Zolgensma

## 2. Al momento de la infusión *(continuación)*

### Infusión de Zolgensma

**Zolgensma es solo para infusión intravenosa de dosis única**

Zolgensma debe administrarse con la bomba de jeringa como una infusión lenta de aproximadamente 60 minutos. Se recomienda la inserción de un catéter secundario de "respaldo"

Se debe administrarse como infusión intravenosa solamente. **No administrar mediante inyección intravenosa o bolo.**

Después de completar la infusión, la vía debe enjuagarse con solución salina.

**Comuníquese con Novartis de inmediato si le preocupa un cambio en el peso del paciente desde que ordenó la dosis de Zolgensma del paciente.**

**Zolgensma contiene organismos modificados genéticamente. Por lo tanto, debe tomar las precauciones adecuadas al manipular o administrar Zolgensma.**

Para obtener instrucciones detalladas sobre la preparación, la manipulación, la exposición accidental y la eliminación (incluida la manipulación adecuada de los desechos corporales) de Zolgensma, consulte el FIP.

FIP: folleto de información al profesional de la salud .

## 3. Después de la infusión

### Administración de dosis de corticoesteroides después de Zolgensma

**El tratamiento con corticoesteroides debe continuar durante al menos 2 meses y no debe reducirse gradualmente hasta que la AST/ALT sea inferior a 2 veces el límite superior normal (LSN) y todas las demás evaluaciones, p. ej., bilirrubina total, regresen al rango normal.**

Podrá ser necesario prolongar este período si las enzimas hepáticas del paciente no disminuyen lo suficientemente rápido, hasta que disminuyan a un nivel aceptable. La dosis de corticoesteroides administrada al paciente debe reducirse lentamente en este momento hasta que el tratamiento pueda interrumpirse por completo.

**La prednisolona 1 mg/kg/día debe administrarse por vía oral (o equivalente si se usa otro corticoesteroides) durante 30 días después de la administración de Zolgensma.** Al final de este período de 30 días de régimen de corticoesteroides, se debe controlar la función hepática de los pacientes.

**Para los pacientes con hallazgos no notables (examen clínico normal, bilirrubina total, y cuyos valores de ALT y AST están por debajo de 2 veces el LSN al final del período total de 30 días):**

Disminución gradual de la prednisolona (o equivalente) durante 28 días.

- Por ejemplo: 2 semanas a 0,5 mg/kg/día y luego 2 semanas a 0,25 mg/kg/día de prednisolona oral

**Para los pacientes con anomalías de la función hepática al final del período total de 30 días:**

Continuar con prednisolona hasta que los valores de AST y ALT estén por debajo de 2 veces el LSN y todas las demás evaluaciones regresen al rango normal, seguido de una disminución gradual durante 28 días o más si es necesario.

**Si en algún momento los pacientes no responden adecuadamente al equivalente de 1 mg/kg/día de prednisolona oral, según la evolución clínica del paciente, se debe considerar una consulta inmediata con un gastroenterólogo o hepatólogo pediátrico y un ajuste al régimen inmunomodulador recomendado, que incluya un aumento de la dosis, una mayor duración o la prolongación de la disminución gradual de los corticoesteroides.**

ALT: alanina aminotransferasa; AST: aspartato aminotransferasa; LSN: límite superior normal.

# Mitigación de los posibles riesgos con Zolgensma

## 3. Después de la infusión *(continuación)*

### Análisis de sangre regulares

**Se debe realizar un monitoreo minucioso y regular (clínico y de laboratorio) del curso individual del paciente durante al menos 3 meses después de la infusión de Zolgensma.**

**La función hepática (ALT, AST, bilirrubina total) debe monitorearse a intervalos regulares durante al menos 3 meses después de la infusión con Zolgensma.**

Las pruebas deben realizarse de la siguiente manera:

- Semanalmente, durante el primer mes y durante todo el período de disminución gradual de corticosteroides.
- Cada 2 semanas durante otro mes
- En otros momentos según indicación clínica

Los pacientes con deterioro de los resultados de las pruebas de la función hepática o signos o síntomas de enfermedad aguda deben ser evaluados y monitoreados de cerca de inmediato.

**Si los pacientes no responden a los corticoesteroides, o si se sospecha una lesión hepática, consulte de inmediato a un gastroenterólogo o hepatólogo pediátrico.**

---

**Monitorear atentamente los recuentos plaquetarios en las primeras 3 semanas después de la infusión y posteriormente de manera regular.**

Después del tratamiento con Zolgensma, se deben monitorear los recuentos plaquetarios:

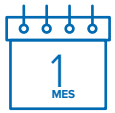
- Al menos semanalmente durante el primer mes.
- Cada dos semanas durante el segundo y el tercer mes hasta que los recuentos plaquetarios regresen al valor inicial.

**Ante sospecha de MAT, se debe consultar a un especialista**

---

**Los niveles de troponina I deben controlarse durante al menos 3 meses después de la infusión de Zolgensma o hasta que los niveles regresen al rango de referencia normal para pacientes con AME.**

Considerar la posibilidad de consultar con un cardiólogo, según sea necesario.




### Eliminación temporal

La eliminación temporal de Zolgensma puede ocurrir, principalmente a través de los desechos corporales, durante al menos 1 mes después del tratamiento con Zolgensma.

**Proporcionar al cuidador consejos prácticos sobre la eliminación de desechos corporales que se deben seguir durante al menos 1 mes después del tratamiento de su hijo con Zolgensma.**

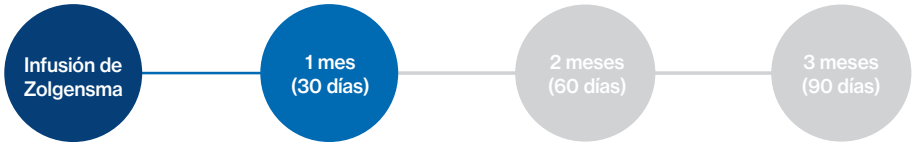
**Usar guantes de protección** al entrar en contacto con líquidos o desechos corporales

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

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

ALT: alanina aminotransferasa; AST: aspartato aminotransferasa; AME: atrofia muscular espinal; MAT: microangiopatía trombótica.

# Mes 1 después del tratamiento con Zolgensma (30 días)




## Análisis de sangre

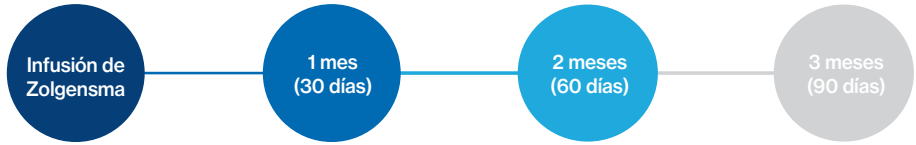
Durante el primer mes después del tratamiento con Zolgensma, su paciente requerirá **análisis de sangre semanales para corroborar la función hepática y el recuento de plaquetas**. Los niveles de troponina I deben monitorearse durante al menos 3 meses después de la infusión de Zolgensma o hasta que los niveles regresen al rango de referencia normal para pacientes con AME. La tabla a continuación se puede usar para guiarlo en el cronograma de análisis de sangre

| Cantidad de semanas después del tratamiento con Zolgensma | Análisis de sangre |
|---|---|
| **Troponina I (si los niveles no han regresado al rango de referencia normal para pacientes con AME)** | |
| **Semana 1** | Función hepática<br>Recuento plaquetario |
| **Semana 2** | Función hepática<br>Recuento plaquetario |
| **Semana 3** | Función hepática<br>Recuento plaquetario |
| **Semana 4** | Función hepática<br>Recuento plaquetario |

AME: atrofia muscular espinal.



# Mes 2 después del tratamiento con Zolgensma (60 días)




## Análisis de sangre

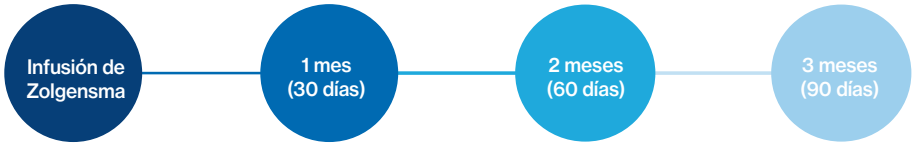
Durante el segundo mes después del tratamiento con Zolgensma y durante todo el período de reducción gradual de corticoesteroides, su paciente requerirá **análisis de sangre semanales para determinar la función hepática. El recuento de plaquetas en sangre debe monitorearse cada dos semanas** hasta que el recuento regrese al valor inicial. Los niveles de troponina I deben monitorearse durante al menos 3 meses después de la infusión de Zolgensma o hasta que los niveles regresen al rango de referencia normal para pacientes con AME. La tabla a continuación se puede usar para guiarlo en el cronograma de análisis de sangre

| Cantidad de semanas después del tratamiento con Zolgensma | Análisis de sangre |
|---|---|
| **Troponina I (si los niveles no han regresado al rango de referencia normal para pacientes con AME)** | |
| **Semana 5** | Función hepática |
| **Semana 6** | Función hepática<br>Recuento de plaquetas (si no regresó al valor inicial) |
| **Semana 7** | Función hepática |
| **Semana 8** | Función hepática<br>Recuento de plaquetas (si no regresó al valor inicial) |

AME: atrofia muscular espinal.

# Cronograma de análisis de sangre

## Mes 3 después del tratamiento con Zolgensma (90 días)




### Análisis de sangre

En el tercer mes después del tratamiento con Zolgensma, su paciente requerirá **análisis de sangre regulares para corroborar la función hepática y el recuento de plaquetas en sangre** (hasta que los recuentos de plaquetas regresen al valor inicial). Los niveles de troponina I deben monitorearse durante al menos 3 meses después de la infusión de Zolgensma o hasta que los niveles regresen al rango de referencia normal para pacientes con AME. La tabla a continuación se puede usar para guiarlo en el cronograma de análisis de sangre

| Cantidad de semanas después del tratamiento con Zolgensma | Análisis de sangre |
|---|---|
| **Troponina-I (si los niveles no han regresado al rango de referencia normal para pacientes con AME)** | |
| **Semana 9** | Función hepática (para un paciente cuya función hepática no regresa al valor inicial después del tratamiento, o para un paciente que se encuentra en el período de disminución progresiva de corticoesteriodes) |
| **Semana 10** | Función hepática<br>Recuento de plaquetas (si no regresó al valor inicial) |
| **Semana 11** | Función hepática (para un paciente cuya función hepática no regresa al valor inicial después del tratamiento, o para un paciente que se encuentra en el período de disminución progresiva de corticoesteriodes) |
| **Semana 12** | Función hepática<br>Recuento de plaquetas (si no regresó al valor inicial) |

**Durante y después del mes 3, es posible que se requieran más análisis de sangre y monitoreo en ciertos casos, que se describen a continuación.**

- La función hepática debe seguir controlándose semanalmente hasta el final de la reducción gradual de corticosteroides y en otros momentos según esté clínicamente indicado.
- Los recuentos de plaquetas deben seguir controlándose cada 2 semanas hasta que vuelvan a los valores iniciales.
- Los niveles de troponina I deben controlarse hasta que los niveles regresen al rango de referencia normal para pacientes con AME.

AME: atrofia muscular espinal.



# Lista de control resumida

**La siguiente lista de control es un resumen de las medidas que se deben tomar antes del inicio, en el momento de la infusión de Zolgensma y después de esta, para ayudar a mitigar los posibles riesgos asociados al tratamiento con Zolgensma:**

### Antes del inicio del tratamiento

- ☐ **Informe al cuidador sobre lo siguiente:**
  - ☐ **Principales riesgos de Zolgensma y sus signos y síntomas, incluidos MAT, insuficiencia hepática y trombocitopenia**
  - ☐ **Asesoramiento práctico sobre la eliminación de desechos corporales.**
  - ☐ **Necesidad de obtención de muestras de sangre con regularidad.**
  - ☐ **Importancia del medicamento corticoesteroides.**
  - ☐ **Necesidad de una mayor vigilancia en la prevención, el monitoreo y el manejo de la infección antes y después del tratamiento con Zolgensma.**
- ☐ **Análisis de sangre, incluido el análisis para detectar la presencia de anticuerpos contra el VAA9** para establecer los niveles iniciales
- ☐ **Administrar una dosis de corticoesteroides** 24 horas antes del tratamiento para amortiguar la respuesta inmunitaria
- ☐ **Evaluar el cronograma de vacunación** para decidir si es necesario ajustarlo
- ☐ **Controlar la salud general,** ya que el tratamiento debe posponerse en caso de signos o síntomas que sugieran infección
- ☐ **Verificar el peso del paciente** para asegurarse de que el paciente reciba la dosis correcta de Zolgensma

### Al momento de la infusión

- ☐ **Verificar que el estado de salud general** del paciente sea adecuado para la infusión (p. ej., resolución de infecciones) o si se justifica una postergación
- ☐ **Verificar que la dosis de corticoesteroides se haya iniciado 24 horas antes de la infusión de Zolgensma** y proporcionar la siguiente dosis para amortiguar la respuesta inmunitaria
- ☐ **Verificar el peso del paciente**para asegurarse de que el paciente reciba la dosis correcta de Zolgensma
- ☐ **La infusión de Zolgensma** se administra una sola vez
- ☐ **Zolgensma se debe manipular de** manera adecuada

### Después de la infusión

- ☐ **El tratamiento con corticoesteroides debe continuar durante al menos 2 meses y no debe reducirse gradualmente hasta que la AST/ALT sea inferior a 2 veces el LSN y todas las demás evaluaciones, p. ej., bilirrubina total, regresen al rango normal.**
- ☐ **Se debe realizar un monitoreo minucioso y regular (clínico y de laboratorio) del curso individual del paciente durante al menos 3 meses.**
- ☐ **Evaluar inmediatamente a los pacientes con empeoramiento de las pruebas de función hepática o signos o síntomas de enfermedad aguda.**
- ☐ **Si los pacientes no responden adecuadamente a los corticosteroides, o si se sospecha una lesión hepática, se requiere la consulta a un gastroenterólogo o hepatólogo pediátrico.**
- ☐ **Ante sospecha de MAT, se debe consultar a un especialista.**

**Consulte el FIP. para conocer las indicaciones de prescripción y seguridad completas, ya que existen otras advertencias y precauciones para Zolgensma.**

VAA9: virus adenoasociado serotipo 9; ALT: alanina aminotransferasa; AST: aspartato aminotransferasa; aspartato aminotransferasa; FIP,folleto de información al profesional de la salud. ; MAT, microangiopatía trombótica; LSN, límite superior normal.

FA-11263985
Fecha de expiración: 10 Septiembre 2026

**Para uso exclusivo de los profesionales de la salud.**

**Novartis Chile S.A. Rosario Norte 615 Piso 8, Santiago, Chile. Tel: +5635020200. Para mas información dirigirse al área de información Médica de Novartis: información.medica@novartis.com.**

**Para visualizar el Folleto de información al profesional de la salud (FIP) escanee el siguiente código QR:**

NOVARTIS

**FA-11263985**
**Fecha de expiración: 10 Septiembre 2026.**