



Preparación para después del tratamiento de la AME

Obtenga más información sobre terapias adicionales, alojamiento y apoyo que pudieran ser necesarios.

Indicación

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.

Información importante de seguridad

ZOLGENSMA puede aumentar los niveles de enzimas hepáticas y causar daño hepático grave agudo o insuficiencia hepática aguda que podría provocar la muerte. 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, si el paciente omite una dosis de corticosteroide o lo vomita, o si el paciente experimenta una disminución en el estado de alerta.

Consulte la Información importante de seguridad adicional en la [página 7](#) y la [Información de prescripción completa](#) adjunta.

A Malachi, tratado con ZOLGENSMA a los ~4 meses de edad y fotografiado a los 4 años de edad, se le diagnosticó AME tipo 1.



Seguir adelante

Conecte con otros cuidadores que comparten su experiencia.

Ahora que su hijo se ha tratado con ZOLGENSMA® (onasemnogene abeparvovec-xioi), es importante saber cómo continuar el manejo de la atrofia muscular espinal (AME) de su hijo y otras necesidades médicas. ZOLGENSMA no es una cura y no puede revertir el daño ya provocado por la AME antes del tratamiento. Su hijo aún tiene AME, y puede continuar mostrando signos y síntomas ahora o en el futuro. Estos pueden incluir dificultad para tragar, dificultad para respirar o debilidad muscular. **Llame al médico de su hijo si observa estos u otros signos o síntomas.**

Los niños con AME pueden experimentar o presentar diferentes signos o síntomas. Es posible que se necesiten terapias, adaptaciones y apoyo para ayudar a manejar la AME de su hijo y guiar su desarrollo en curso.

La información de las siguientes páginas ofrece una breve introducción a los tipos de cuidados que pueden necesitar los niños con AME.

Las infecciones antes o después de la infusión de ZOLGENSMA pueden dar lugar a complicaciones más graves. Toda persona que tenga contacto cercano con su hijo debe seguir unas buenas prácticas de salud e higiene. Comuníquese con el médico de su hijo de inmediato si su hijo experimenta signos de una posible infección, como tos, sibilancia, estornudos, secreción nasal, dolor de garganta o fiebre.

Consulte la Información importante de seguridad adicional en la **página 7** y la **Información de prescripción completa adjunta.**

 **zolgensma**®
(onasemnogene
abeparvovec-xioi)
suspension for intravenous infusion



“

Donovan visita a un fisioterapeuta una vez a la semana. Veo avances todo el tiempo. Es lento y constante. Tiene que esforzarse un poco más en las cosas, pero sí suceden.”

Laura, madre de Donovan

A Donovan, tratado con ZOLGENSMA a los ~2 meses de edad y fotografiado a los 4 años de edad, se le diagnosticó AME tipo 1.

Cómo crear un equipo de atención médica

El equipo de atención médica de su hijo debe ser personalizado para sus necesidades. Un especialista en enfermedades neuromusculares o un neurólogo infantil probablemente será quien controle la salud continua de su hijo en relación con la AME, y puede servir como coordinador de la atención. Otros integrantes del equipo de atención de su hijo pueden incluir:

- **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.

Consulte la Información importante de seguridad adicional en la [página 7](#) y la [Información de prescripción completa adjunta](#).


zolgensma®
(onasemnogene
abeparvovec-xioi)
suspension for intravenous infusion



A Maisie, tratada con ZOLGENSMA a los ~20 meses de edad y fotografiada a los 2 años de edad, se le diagnosticó AME tipo 1.

Maisie comenzó otro tratamiento para la AME cuando tenía ~6 meses, pero lo interrumpió después de recibir ZOLGENSMA.

Asistencia respiratoria

Los problemas respiratorios son frecuentes en los niños con AME y se consideran una complicación grave, especialmente en pacientes con AME de tipo 1 y tipo 2. La AME afecta a los músculos que se usan para respirar, lo que puede llevar a la necesidad de asistencia respiratoria, según la gravedad de la enfermedad. Con frecuencia, se usa un aparato de presión positiva de dos niveles en las vías respiratorias (bivascular positive airway pressure, BiPAP) en niños con AME que presentan problemas para respirar. Este aparato puede ayudar a expulsar el aire a los pulmones para ayudar a la respiración. Un aparato de asistencia para la tos también puede usarse para ayudar a limpiar las vías respiratorias. Una máquina de succión portátil puede ayudar a eliminar el exceso de mucosidad y saliva que puede acumularse en la boca del niño. Esta no es una lista completa del soporte respiratorio, y cada niño es diferente, por lo tanto, consulte al médico de su hijo si es necesario el uso de equipo o atención respiratoria continua.

La madre de Maisie, Ciji, trabajó estrechamente con su equipo de atención médica para determinar el mejor equipo respiratorio según las necesidades de Maisie.

Consulte la Información importante de seguridad adicional en la [página 7](#) y la [Información de prescripción completa adjunta](#).

Apoyo físico

Dependiendo del desarrollo y los síntomas de la AME de su hijo, otros terapeutas o médicos especializados en enfermedades que afectan a los huesos, las articulaciones y los músculos (el sistema musculoesquelético) pueden formar parte de su equipo de atención. Estos tipos de complicaciones pueden abordarse mediante terapia, aparatos ortopédicos u otros equipos de apoyo. Trabaje con el médico o especialista de su hijo para controlar continuamente cualquier problema adicional que pueda surgir.

Visitas de bienestar

La atención preventiva es una de las mejores maneras de defenderse contra determinadas enfermedades y lesiones, en especial aquellas no relacionadas a AME. Por eso es importante visitar al pediatra general de su hijo para que se someta a revisiones y vacunas de rutina. Durante estas citas, también puede revisar cualquier apoyo adicional para la AME que su hijo pueda necesitar o los objetivos que espera lograr. Mantener informado a su pediatra le permitirá abordar de forma proactiva las inquietudes ahora o en el futuro y proporcionar una visión más amplia de la atención médica de su hijo.

“
El manejo de la AME de Malachi implica fisioterapia y terapia ocupacional. Estamos tratando de fortalecerlo. Cuanto más fuerte se sienta, más podrá hacer.”

Tina, madre de Malachi

A Malachi, tratado con ZOLGENSMA a los ~4 meses de edad y fotografiado a los 4 años de edad, se le diagnosticó AME tipo 1.

Consulte la Información importante de seguridad adicional en la [página 7](#) y la [Información de prescripción completa adjunta](#).


zolgensma®
(onasemnogene
abeparvovec-xioi)
suspension for intravenous infusion



Alimentación

Para los niños con AME, una buena nutrición es importante para favorecer el crecimiento y la función motora, la respiración e incluso prevenir enfermedades. Un especialista en dietética o nutricionista matriculado puede ayudar a asegurar que se cumplan las necesidades nutricionales de su hijo a través de su dieta. Esto puede incluir el monitoreo del peso, la ingesta de líquidos y los niveles de las vitaminas, y los nutrientes necesarios para el crecimiento y el desarrollo. Trabaje con su equipo de atención primaria para que sea remitido a un especialista en dietética o nutricionista matriculado.

Atención para el cuidador

La demanda de ser un cuidador puede sentirse abrumadora en momentos y tener un efecto perjudicial en todo, desde su salud hasta sus relaciones. Es por eso que es importante que se cuide y se enfoque en su propia salud también. Algunas ideas que puede ayudar incluyen:

- Encontrar tiempo para usted: trabaje en el jardín o relájese con un libro
- Pasar tiempo con amigos: vaya a almorzar o a ver una película
- Hacer ejercicio: intente practicar yoga o realizar una caminata rápida alrededor del barrio
- Hablar con alguien: únase a un grupo de apoyo y conozca otras personas que comprenden lo que usted está atravesando

Consulte la Información importante de seguridad adicional en la [página 7](#) y la [Información de prescripción completa adjunta](#).

 **zolgensma**[®]
(onasemnogene
abeparvovéc-xioi)
suspension for intravenous infusion

“
Tener conocimientos sobre la atención de la AME nos ayuda a prepararnos para el futuro. Si conoce los avatares de sus días, puede ir un paso adelante.”

Natalie, madre de Eli

A Eli, tratado con ZOLGENSMA a los ~4 meses de edad y fotografiado al 5 años de edad, se le diagnosticó AME tipo 1. Eli ha recibido otro tratamiento para la AME más de 2 años después de recibir ZOLGENSMA.

Información importante de seguridad e indicación

¿Qué es 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 aumentar los niveles de enzimas hepáticas y causar daño hepático grave agudo o insuficiencia hepática aguda que podría provocar la muerte.
- 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, si el paciente omite una dosis de corticosteroide o lo vomita, o si el paciente experimenta una reducción de su estado de alerta.

¿Qué debo observar antes y después de la infusión con ZOLGENSMA?

- Las infecciones antes o después de la infusión de ZOLGENSMA pueden dar lugar a complicaciones más graves. Los cuidadores y los contactos cercanos del paciente deben seguir los procedimientos de prevención de infecciones. Comuníquese con el médico del paciente de inmediato si el paciente experimenta signos de una posible infección, 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 notificó microangiopatía trombótica (MAT) que ocurrió, por lo general, dentro de las dos primeras semanas después de la infusión de ZOLGENSMA. Busque 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.
- Existe un riesgo teórico de desarrollar tumores con el uso de terapias génicas tales como ZOLGENSMA. Comuníquese con el médico del paciente y con Novartis Gene Therapies, Inc. (1-833-828-3947) si se desarrolla un tumor.

¿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 que la profilaxis contra la gripe y el virus respiratorio sincicial (VRS) y el estado de vacunación estén actualizados antes de la administración de ZOLGENSMA. Consulte con el médico del paciente.

¿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 del paciente 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 FDA al 1-800-FDA-1088 o en www.fda.gov/medwatch, o con Novartis Gene Therapies, Inc. al 1-833-828-3947.

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

