




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



**GUÍA PARA EL
CUIDADOR
DE NIÑOS
QUE RECIBEN
ZOLGENSMA**

**Una dosis única para el
tratamiento de la AME
en niños menores de 2 años.**

A Ryker, tratado con ZOLGENSMA a los 5 meses de edad y fotografiado a los 2 años de edad junto a su padre, Glen, se le diagnosticó AME tipo 1. Antes de recibir tratamiento con ZOLGENSMA, Ryker recibió otro tratamiento para la AME.

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 reducción de su estado de alerta.

Consulte la Información importante de seguridad adicional en la [página 27](#) y la [Información de prescripción completa](#) que se adjunta.

Índice

Haga clic en el número de página para obtener información detallada sobre estos temas relacionados con ZOLGENSMA® (onasemnogene abeparvovec-xioi) y mucho más.

3




DATOS SOBRE LA AME

Comprenda la causa genética de la AME y cómo afecta al organismo.

[Ir a la página 3 >](#)

6



ACERCA DE ZOLGENSMA

Infórmese sobre la dosis por única vez y cómo funciona.

[Ir a la página 6 >](#)

9




TRATAMIENTO CON ZOLGENSMA

Conozca los pasos para comenzar el tratamiento con ZOLGENSMA y lo que puede esperar antes, durante y después del tratamiento.

[Ir a la página 9 >](#)

18



RESULTADOS DE ESTUDIOS CLÍNICOS

Descubra los resultados de eficacia y seguridad de los estudios clínicos.

[Ir a la página 18 >](#)

25



PERFIL DE SEGURIDAD DE ZOLGENSMA

Lea sobre los datos de seguridad y los efectos secundarios.

[Ir a la página 25 >](#)

Información importante de seguridad

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.

Consulte la **Indicación e Información importante de seguridad** en la **página 27** y la **Información de prescripción completa** que se adjunta.

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

DATOS SOBRE LA AME

“

El día del tratamiento nos dio esperanza para el futuro de Brady. Celebramos ese día porque sentimos que ese es el día en que Brady tuvo la oportunidad de ser niño de nuevo.”

Nicole, madre de Brady

A Brady, tratado con ZOLGENSMA a los 14 meses de edad y fotografiado a los 2 años de edad, se le diagnosticó AME tipo 2.

Información importante de seguridad

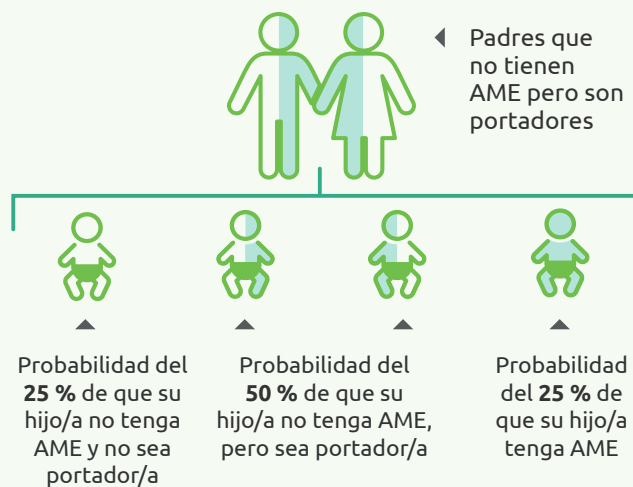
Las infecciones antes o después de la infusión de ZOLGENSMA[®] (onasemnogene abeparvovec-xioi) pueden dar lugar a complicaciones más graves. Los cuidadores y los contactos cercanos del paciente deben seguir los procedimientos de prevención de infecciones. Comuníquese con el médico del paciente de inmediato si el paciente experimenta signos de una posible infección, como tos, sibilancia, estornudos, secreción nasal, dolor de garganta o fiebre.

Consulte la Indicación e Información importante de seguridad en la [página 27](#) y la [Información de prescripción completa](#) que se adjunta.

La AME es una enfermedad genética rara y, si se diagnostica de forma temprana, se puede tratar rápidamente para detener el progreso de la enfermedad

Cómo se hereda la AME

La atrofia muscular espinal (AME) es un trastorno autosómico recesivo. Esto significa que, para tener AME, una persona debe tener 2 copias de un gen de supervivencia de las neuronas motoras 1 no funcional (*SMN1*) o no tener ambas copias del gen *SMN1*.



Aproximadamente
1 de cada

50

personas de los Estados Unidos (o 6.6 millones* de estadounidenses) son portadoras genéticas de la AME y la mayoría no la conocen.

*Los cálculos se basan en una población estimada de 330 millones de habitantes estadounidenses.

 / 11K

La AME afecta aproximadamente a 1 de cada 11,000 bebés nacidos en EE. UU.

A medida que se diagnostica a más niños de forma temprana durante la detección neonatal, el tratamiento puede iniciarse inmediatamente para detener el progreso de la AME y mejorar los resultados.

Información importante de seguridad

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.

Consulte la **Indicación e Información importante de seguridad** en la **página 27** y la **Información de prescripción completa** que se adjunta.

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

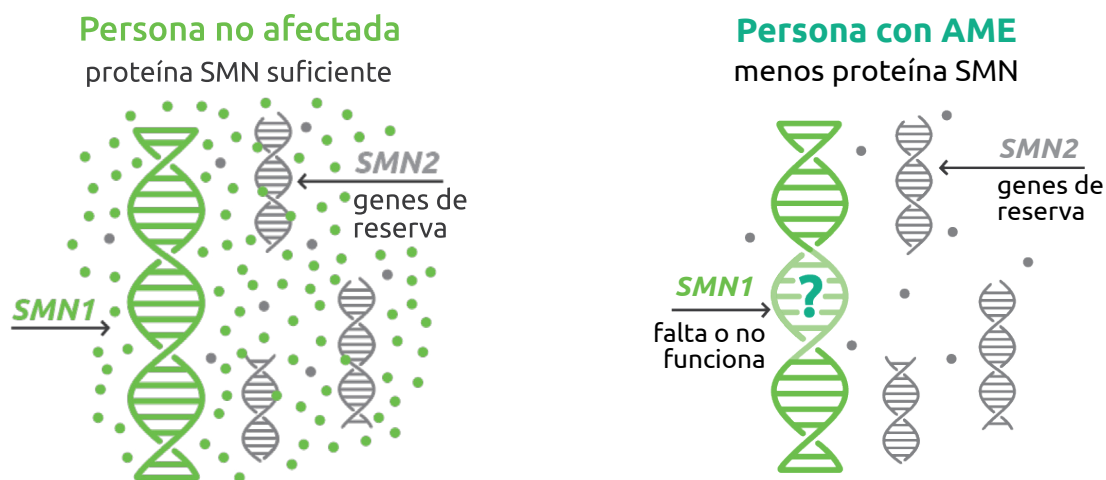
¿Qué causa la AME?

La causa fundamental genética de la AME es el gen *SMN1* que falta o no funciona correctamente. Cuando falta este gen principal o no funciona correctamente, el cuerpo no puede producir suficiente proteína de supervivencia de neuronas motoras (SMN), que es necesaria para la supervivencia de las células de las neuronas motoras. Todo el mundo nace con una cierta cantidad de células de neuronas motoras, que son responsables de comunicarse con los brazos, las piernas, la garganta y muchas otras áreas del cuerpo para indicarles que funcionen correctamente. Si no hay suficiente proteína SMN, las células de neuronas motoras seleccionadas de todo el cuerpo pueden perder función y morir. Como resultado, los niños con AME experimentan debilidad muscular y pueden desarrollar dificultad para respirar, tragar o hablar.

El papel de un gen de respaldo

Hay un gen de respaldo para el gen *SMN1* llamado gen *SMN2*. Las personas pueden tener 1 o más copias de este gen de reserva. Este gen, al igual que el gen *SMN1*, indica al cuerpo que produzca la proteína SMN. Para las personas con AME, el gen *SMN2* es la única fuente de proteína SMN; sin embargo, es incapaz de producir tanta proteína funcional como el gen *SMN1*. **De hecho, el gen *SMN2* produce solo aproximadamente el 10 % de la proteína de trabajo en comparación con la proteína producida por el gen *SMN1*. Por eso es esencial abordar la causa fundamental genética de la AME sustituyendo la función del gen *SMN1* ausente o no funcional.** Incluso las personas con varias copias del gen *SMN2* pueden no producir tanta proteína SMN como aquellas con el gen *SMN1* funcional, y sus células de neuronas motoras pueden no funcionar como deberían. Por lo general, cuanta más copias del gen *SMN2* tenga una persona, menos grave será su AME.

Los genes *SMN1* y *SMN2*



Información importante de seguridad

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.

Consulte la **Indicación e Información importante de seguridad en la página 27** y la **Información de prescripción completa** que se adjunta.


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

ACERCA DE ZOLGENSMA

“

Recibió tratamiento y eso me da esperanza para el futuro. Todavía es pequeña, pero quiero que sienta que puede hacer lo que quiera.”

Aaron, padre de Natalie

A Natalie, tratada con ZOLGENSMA a los ~14 meses de edad y fotografiada al 1½ años de edad, se le diagnosticó AME tipo 2.

Mire videos de familiares
y escuche a cuidadores
compartir sus experiencias.



Información importante de seguridad

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.

Consulte la **Indicación e Información importante de seguridad** en la **página 27** y la **Información de prescripción completa** que se adjunta.

La dosis única para el tratamiento de la AME

Con una dosis, ZOLGENSMA® (onasemnogene abeparvovec-xioi) puede detener el progreso de la AME. Es una terapia génica diseñada para sustituir la función del gen *SMN1* ausente o que no funciona y que causa AME. El ZOLGENSMA no es una cura y no puede revertir el daño ya causado por la AME antes del tratamiento.

ZOLGENSMA ataca la causa fundamental genética de la AME

1



Un enfoque dirigido

ZOLGENSMA ataca la causa fundamental genética de la AME sustituyendo la función de un gen ausente o no funcional llamado gen *SMN1*. Este gen es fundamental para producir la proteína SMN.

2



La importancia de la proteína SMN

La proteína SMN es esencial para la supervivencia celular de las neuronas motoras. Estas células controlan la función muscular. Sin la proteína SMN, las células de las neuronas motoras mueren, lo que provoca que los músculos se vuelvan tan débiles que la respiración, la alimentación y el movimiento se vuelvan difíciles, y la afección pueda ser potencialmente mortal en sus formas más graves.

Información importante de seguridad

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.

Consulte la **Indicación e Información importante de seguridad** en la **página 27** y la **Información de prescripción completa** que se adjunta.

ZOLGENSMA ataca la causa fundamental genética de la AME (continuación)

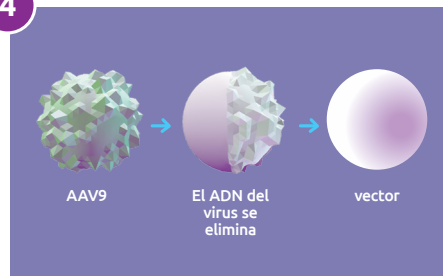
3



El papel del vector

ZOLGENSMA® (onasemnogene abeparvovec-xioi) se compone de una nueva copia funcional de un gen *SMN* humano que se coloca dentro de un vector. La función de un vector es llevar el nuevo gen *SMN*, que funciona bien, a las células de las neuronas motoras del cuerpo.

4



Entrega del gen *SMN*

El vector que libera el gen *SMN* se fabrica a partir de un virus llamado virus adenoasociado 9, o AAV9. No se conoce que este virus enferme a las personas. Para fabricar el vector, el ADN del virus se elimina para que el nuevo gen *SMN* pueda colocarse dentro. Los vectores se utilizan porque pueden viajar por todo el cuerpo y llevar el nuevo gen funcional a las células donde es necesario.

5



Producción de proteína *SMN*

Cuando el nuevo gen llega a su destino, indica a las células de las neuronas motoras que empiecen a producir proteína *SMN*. Esto sucede en todo el cuerpo, administrando una nueva copia funcional del gen *SMN* a las células de las neuronas motoras.

6



Se mantienen las células de las neuronas motoras

Con las células de las neuronas motoras capaces ahora de producir suficiente proteína *SMN*, las células de las neuronas motoras que no han muerto pueden sobrevivir, funcionar y mantenerse.

Vea un video animado sobre cómo funciona ZOLGENSMA.



Información importante de seguridad

Los efectos secundarios más frecuentes que se produjeron en los pacientes tratados con ZOLGENSMA fueron el aumento de las enzimas hepáticas y los vómitos.

Consulte la **Indicación e Información importante de seguridad** en la **página 27** y la **Información de prescripción completa** que se adjunta.


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

TRATAMIENTO CON ZOLGENSMA

“

Significa mucho para nosotros tener un tratamiento único. Nos da más tiempo para ser una familia en el hogar.”

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.

Mire videos de familiares
y escuche a cuidadores
compartir sus experiencias.



Información importante de seguridad

ZOLGENSMA[®] (onasemnogene abeparvovec-xioi) 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.

Consulte la Indicación e Información importante de seguridad en la [página 27](#) y la [Información de prescripción completa](#) que se adjunta.

1

2

3

4

5

PASO
1

Pruebas previas al tratamiento para determinar si su hijo/a cumple los requisitos para recibir 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 AME. Se administra como una infusión de una sola vez en una vena. Si usted y el médico de su hijo/a han elegido ZOLGENSMA, hay que tomar algunas medidas para determinar si su hijo/a es apto/a para recibir ZOLGENSMA.

● Realizar las pruebas de análisis de laboratorio importantes

● Confirmar un diagnóstico

Aunque su hijo/a puede haber recibido su diagnóstico de AME en una prueba de detección neonatal, las compañías de seguro suelen requerir una prueba genética de AME adicional para confirmar el diagnóstico.

● Realizar una prueba de anticuerpos contra AAV9

ZOLGENSMA viaja por todo el cuerpo a través de un vehículo de administración fabricado a partir de un virus llamado virus adenoasociado 9, o AAV9. No se conoce que este virus enferme a las personas.

Una prueba de anticuerpos AAV9 mide la cantidad de anticuerpos anti-AAV9 en el cuerpo de su hijo/a. Si el nivel de anticuerpos AAV9 existente de su hijo/a no se encuentra dentro de determinado rango, puede pedirle al médico que lo monitoree y que repita la prueba. Si los niveles de anticuerpos bajan, su hijo/a puede ser elegible para recibir tratamiento.

● Realizar análisis de sangre iniciales

El médico de su hijo/a deberá establecer un punto de partida para poder monitorear de cerca después del tratamiento con ZOLGENSMA, vigilando cosas como la función hepática*, los niveles de creatinina, un hemograma completo (hemoglobina, recuento de plaquetas, etc.) y troponina-I. Estas pruebas pueden ocurrir mientras espera la aprobación o mientras se acerca al tratamiento.

* La evaluación de la función hepática incluye un examen clínico, aspartato aminotransferasa [AST], alanina aminotransferasa [ALT], bilirrubina total, albúmina, tiempo de protrombina, tiempo de tromboplastina parcial [TTP] e índice internacional normalizado [INR].

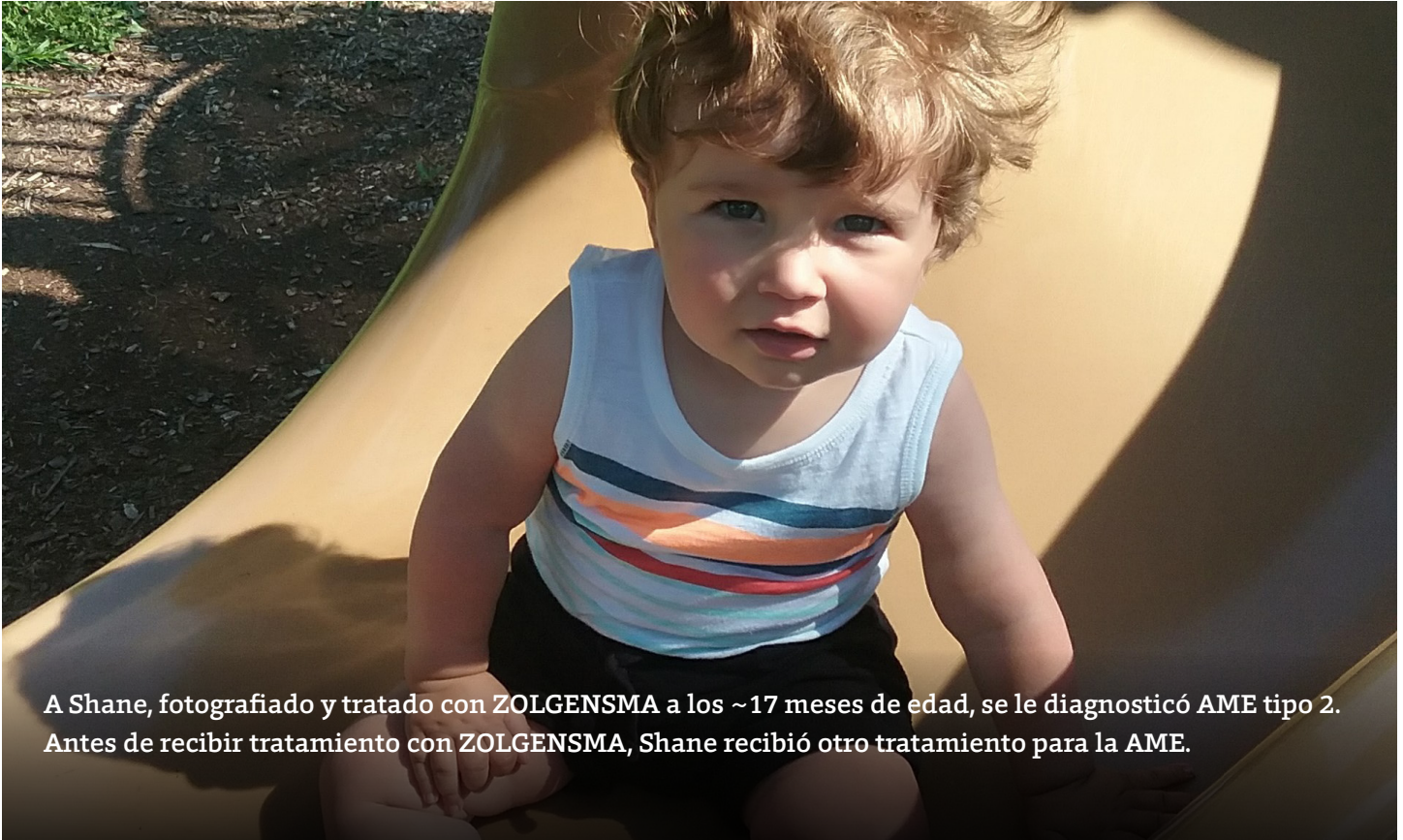
Descargue nuestra guía completa sobre el tratamiento con ZOLGENSMA.

Información importante de seguridad

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.

Consulte la **Indicación e Información importante de seguridad en la página 27** y la **Información de prescripción completa** que se adjunta.


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



A Shane, fotografiado y tratado con ZOLGENSMA a los ~17 meses de edad, se le diagnosticó AME tipo 2. Antes de recibir tratamiento con ZOLGENSMA, Shane recibió otro tratamiento para la AME.

● Indique a el médico de su hijo que envíe un Formulario de receta de ZOLGENSMA y un formulario de consentimiento del paciente

Mientras espera los resultados de las pruebas, pídale al médico de su hijo/a que envíe un Formulario de receta de ZOLGENSMA® (onasemnogene abeparvovec-xioi) y un Formulario de consentimiento del paciente. Cuando firme el formulario de consentimiento, se lo inscribirá en **OneGene Program**® y conocerá a su Embajador de la familia, quien será su punto de contacto exclusivo principal. Además, también tendrá el apoyo del Coordinador de casos, quien trabajará de cerca con su médico, con el Embajador de la familia y con usted para ayudar en el proceso para que su hijo/a reciba ZOLGENSMA.

Una vez que se reciba el Formulario de receta y el Formulario de consentimiento del paciente, un representante del OneGene Program le llamará para comentar el apoyo al paciente que tiene a su disposición.

Información importante de seguridad

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.

Consulte la **Indicación e Información importante de seguridad** en la **página 27** y la **Información de prescripción completa** que se adjunta.


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

1

2

3

4

5

PASO
2

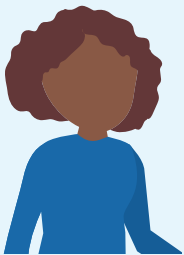
Conéctese con OneGene Program®

El **OneGene Program**, un equipo de personas altamente formadas y dedicadas, es una oferta de apoyo individualizado para usted y su hijo/a a quien se le ha recetado el tratamiento único con ZOLGENSMA® (onasemnogene abeparvovec-xioi).

OneGene, OneTeam, OnePurpose:

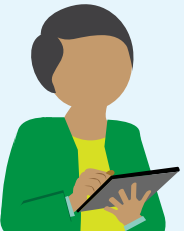
Para obtener más información, llame al 855-441-GENE (4363), de lunes a viernes (8:00 A. M. a 8:00 P. M., hora del este).

Novartis Gene Therapies está ahí para su familia, proporcionando asistencia adicional a lo largo del tratamiento.



Embajador de la familia

Un Embajador de la familia será su punto de contacto principal que responderá sus preguntas relacionadas con la AME, ZOLGENSMA y su cobertura del seguro de salud. Su Embajador de la familia le proporcionará apoyo mientras su hijo/a recorre el tratamiento.



Coordinador de casos

Un Coordinador de casos puede comentarle sobre opciones de ayuda financiera en función de la elegibilidad de su hijo/a, responderle preguntas sobre el seguro de salud y proporcionarle los recursos adecuados a su médico cuando sea necesario, y, además, puede realizar un seguimiento del tratamiento con ZOLGENSMA desde el momento que se emite la receta hasta que llega al consultorio del médico.

Los miembros del equipo **OneGene Program** se encuentran disponibles como apoyo adicional y no sustituyen la experiencia de su médico. Para preguntas médicas específicas y orientación, consulte con su médico para recibir la información más precisa y adecuada.

Información importante de seguridad

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.

Consulte la **Indicación e Información importante de seguridad** en la **página 27** y la **Información de prescripción completa** que se adjunta.


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

1

2

3

4

5

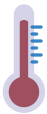
PASO
3

Prepárese para el día de tratamiento

Si su hijo/a está aprobado/a para recibir el tratamiento con ZOLGENSMA® (onasemnogene abeparvovec-xioi), el médico y el equipo de atención de su hijo/a le ayudarán a saber exactamente qué esperar el día del tratamiento y cómo prepararse. Además, su Embajador de la familia trabajará con usted para comprender cómo él/ella puede apoyar mejor a su familia el día del tratamiento.



Si aún no lo ha hecho, el médico de su hijo/a debe realizar análisis de sangre para comprobar su función hepática y establecer los niveles al inicio de creatinina, hemograma completo (incluyendo hemoglobina y recuento de plaquetas) y troponina-I. Pregúntele al médico de su hijo/a si son necesarias pruebas adicionales antes del día de tratamiento. Estas pruebas ayudarán al médico de su hijo/a y al equipo de atención a monitorear a su hijo/a después de la administración de la dosis. Es mejor realizar los análisis de sangre lo antes posible para que su hijo/a reciba tratamiento rápidamente.



Las infecciones antes o después de la infusión de ZOLGENSMA pueden dar lugar a complicaciones más graves. Para reducir el riesgo de enfermedad, limite el contacto con otras personas. Mantenga una buena higiene, como toser o estornudar en un pañuelo desechable, y lavarse las manos con agua y jabón durante al menos 20 segundos. Si aparecen síntomas de una infección antes de la infusión, posiblemente se le pida que posponga el tratamiento hasta que se haya resuelto la infección. Esté atento para ver si hay signos de infección y comuníquese con el médico de su hijo/a de inmediato si ve algún signo de una posible infección como tos, sibilancia, estornudos, secreción nasal, dolor de garganta o fiebre.



El ciclo de un corticosteroide oral debe iniciarse el día anterior a la infusión con ZOLGENSMA. Esto ayuda a controlar las reacciones elevadas de las enzimas hepáticas a ZOLGENSMA por parte del sistema inmunitario del organismo. Complete la receta del corticosteroide oral en cuanto la reciba. (Es posible que su farmacia deba pedirlo). Hable con su médico sobre qué protocolo seguir y qué hacer si su hijo/a rechaza la dosis o si la vomita.



Confirme la fecha, hora y ubicación de la infusión de su hijo/a con el médico de su hijo/a. Determine el plan de transporte de su familia y obtenga instrucciones para llegar al centro de tratamiento, incluida la dirección y las zonas de estacionamiento disponibles si conduce. Pregunte al centro de tratamiento sobre su política con respecto a qué llevar y cuántos miembros de la familia pueden acompañarlos a usted y a su hijo/a el día de la infusión.

Información importante de seguridad

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.

Consulte la **Indicación e Información importante de seguridad** en la **página 27** y la **Información de prescripción completa** que se adjunta.


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

1

2

3

4

5

PASO
4

Día del tratamiento

El día del tratamiento, se le administrará la infusión de ZOLGENSMA a su hijo/a

Debe administrar a su hijo/a la segunda dosis del corticosteroide oral el día de la infusión según lo prescrito por el médico de su hijo para ayudar a controlar las reacciones a ZOLGENSMA® (onasemnogene abeparvovec-xioi) por parte del sistema inmunitario del organismo. Confirme con su médico si debe administrar esta dosis antes de llegar al hospital. La infusión real durará 60 minutos. Pregunte anticipadamente al médico o al equipo de atención de su hijo/a cuánto tiempo deberá permanecer en el centro de tratamiento después de la infusión de su hijo/a.

Recuerde hablar con el médico de su hijo y equipo de atención sobre cualquier familiar que desee tener con usted el día del tratamiento. Si es posible, puede tener la opción de que su Embajador de la familia esté presente el día del tratamiento para apoyar a su familia.

Se le entregará un Kit posterior al tratamiento el día del tratamiento que detalla el monitoreo médico adicional y los tipos de especialistas que pueden formar parte del equipo de atención médica de su hijo/a. Asegúrese de recibir el kit del médico de su hijo o pida uno a su Embajador de la familia.



A Sienna, fotografiada y tratada con ZOLGENSMA a los 17 meses de edad, se le diagnosticó AME tipo 1. Antes de recibir tratamiento con ZOLGENSMA, Sienna recibió otro tratamiento para la AME.

Información importante de seguridad

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.

Consulte la **Indicación e Información importante de seguridad** en la **página 27** y la **Información de prescripción completa** que se adjunta.

Qué hacer y qué saber antes de abandonar el hospital

Hable con el médico de su hijo acerca del seguimiento y el monitoreo adicionales posteriores al tratamiento. Usted continuará administrando a su hijo el corticoesteroide según lo indicado por su médico. El ciclo de tratamiento específico con el corticoesteroide para cada niño tendrá en cuenta varios factores clínicos y quedará a criterio del médico de su hijo.

El médico realizará un monitoreo de la función hepática de su hijo después del tratamiento con ZOLGENSMA® (onasemnogene abeparvovec-xioi) mediante análisis de sangre y exámenes clínicos, y determinará cuándo comenzar a disminuir gradualmente la dosis del corticoesteroide y finalmente suspenderlo. El período sugerido para la disminución (gradual) de la dosis es no menos de 28 días. El médico de su hijo controlará su función hepática semanalmente durante el ciclo de tratamiento con el corticoesteroide y el período de reducción gradual de la dosis (al menos 2 meses) y, a continuación, cada dos semanas durante al menos 1 mes después de que su hijo deje de tomar el corticoesteroide.

- Comuníquese con el médico de su hijo de inmediato si la piel y/o la parte blanca de los ojos de su hijo toman un aspecto amarillento, si se olvida de tomar o no toma por alguna razón una dosis de corticoesteroide o lo vomita, o si su hijo experimenta una reducción de su estado de alerta.
- Hable con el médico de su hijo sobre los posibles efectos secundarios que pueden aparecer después del tratamiento, especialmente qué hacer si se producen vómitos o fiebre.

Además de la función hepática,* el médico de su hijo realizará análisis de sangre para medir los recuentos de plaquetas y los niveles de troponina I. Use el espacio a continuación para ayudarse a llevar un registro de las citas.

	Fecha	Hora	Ubicación
Semana 1			
Semana 2			
Semana 3			
Semana 4			
Semana 5			
Semana 6			
Semana 7			
Semana 8			
Semana 9			
Semana 10			
Semana 11			
Semana 12†			

*La función hepática de su hijo/a se monitoreará semanalmente durante **dos meses o más**, mientras dure el tratamiento con el corticoesteroide y a medida que se reduzca la dosis. Se continuará con el monitoreo de la función hepática de su hijo/a cada dos semanas durante **un mes más** después de suspender el corticoesteroide.

† Puede requerirse un monitoreo después de las 12 semanas.

Se debe evaluar de manera inmediata y controlar atentamente a su hijo si las pruebas de la función hepática empeoran o si usted o el médico notan signos o síntomas de enfermedad aguda, como vómitos o desmejoramiento de la salud.

Consulte la **Indicación e Información importante de seguridad en la página 27** y la **Información de prescripción completa** que se adjunta.



1

2

3

4

5

PASO
5

Después del tratamiento con ZOLGENSMA

Una vez que su hijo/a haya sido tratado/a con ZOLGENSMA® (onasemnogene abeparvovec-xioi), es importante aprender a seguir controlando la AME de su hijo/a. Esto incluye hablar con un especialista neuromuscular y crear un equipo de atención médica ampliado.

Continuar con la atención médica de su hijo/a para la AME

Aunque ZOLGENSMA detiene la progresión de la AME al sustituir la función del gen *SMN1* ausente o que no funciona de su hijo/a, ZOLGENSMA no es una cura y no puede revertir el daño ya causado por la AME antes del tratamiento. Por eso es importante que hable con el especialista neuromuscular y el equipo de atención médica de su hijo/a para revisar los tratamientos de apoyo (como la fisioterapia y la terapia ocupacional, trabajar con un nutricionista y reunirse con un neumólogo) para determinar qué tipo de atención puede ser la mejor para su hijo/a después del tratamiento. Pueden ser necesarios tratamientos, alojamientos y apoyo adicionales para guiar el desarrollo continuo de su hijo/a. Colabore con el equipo de atención médica de su hijo/a para evaluar su progreso después del tratamiento.

Su hijo/a puede seguir mostrando signos de AME. Estos pueden incluir dificultad para tragar o respirar o debilidad muscular. Comente cualquier signo o síntoma con el médico y el equipo de atención médica de su hijo/a.

La comunidad con AME está aquí para usted



Para conectar con otros cuidadores y descubrir recursos valiosos, consulte [CureSMA.org](https://www.curesma.org).

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 reducción de su estado de alerta.

Consulte la **Indicación e Información importante de seguridad** en la **página 27** y la **Información de prescripción completa** que se adjunta.



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



Imagen de izquierda a derecha: Matthew, Ellie, Montgomery y Emily. A Ellie, tratada con ZOLGENSMA a los 15 días de edad y fotografiada a los 9 meses de edad, se le diagnosticó AME en el útero.

Conéctese con sus familias para obtener más información

Vea cómo les va a los niños tratados con ZOLGENSMA® (onasemnogene abeparvovec-xioi), escuche a los cuidadores de niños con AME y aprenda más sobre el tratamiento.



Información importante de seguridad

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.

Consulte la **Indicación e Información importante de seguridad** en la **página 27** y la **Información de prescripción completa** que se adjunta.


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

RESULTADOS DE ESTUDIOS CLÍNICOS



“

Tenley ha ganado fuerza después del tratamiento. Es capaz de manejar una silla de ruedas por sí misma, moverse y sentirse más como una niña. Eso es muy importante para nosotros.”

Lacretia, madre de Tenley

A Tenley, tratada con ZOLGENSMA a los ~5½ meses de edad y fotografiada a los 4½ años de edad, se le diagnosticó AME tipo 1.

Información importante de seguridad

Después de la infusión con ZOLGENSMA[®] (onasemnogene abeparvovec-xioi) podría producirse una disminución de los recuentos de plaquetas. Busque atención médica de inmediato si el paciente experimenta sangrado o moretones inesperados.

Consulte la Indicación e Información importante de seguridad en la [página 27](#) y la [Información de prescripción completa](#) que se adjunta.

ZOLGENSMA aumentó los logros de los niños con síntomas en todas las medidas estudiadas

El objetivo del estudio STR1VE era evaluar la eficacia y la seguridad de ZOLGENSMA® (onasemnogene abeparvovec-xioi). En el estudio STR1VE se incluyó a 22 niños con síntomas,* lo que significa que mostraron síntomas de AME antes de recibir tratamiento. A todos los niños se les diagnosticó AME tipo 1, tenían 2 copias del gen de reserva SMN2 y tenían 6 meses de edad o menos en el momento de la infusión intravenosa (i.v.).

- La edad media en el momento de la administración fue de 3.7 meses (rango de 0.5 a 5.9 meses)
- Todos los niños recibieron la dosis terapéutica de ZOLGENSMA (dosis aprobada por la FDA)
- Se realizó un seguimiento de los niños hasta su visita del estudio a los 18 meses de edad

*A un niño se lo clasificó inicialmente como presintomático, pero más tarde se confirmó que tenía síntomas y se lo incluyó en los hallazgos finales del estudio clínico.

El estudio STR1VE examinó 5 mediciones clave

Supervivencia sin eventos

Sentarse sin asistencia (durante al menos 30 segundos)

Capacidad de prosperar

Independencia del apoyo respiratorio y alimentario

Función motriz

[Ver más resultados del estudio clínico STR1VE.](#)

Información importante de seguridad

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.

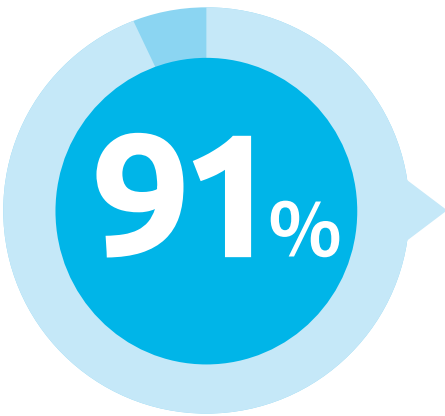
Existe un riesgo teórico de desarrollar tumores con el uso de terapias génicas tales como ZOLGENSMA. Comuníquese con el médico del paciente y con Novartis Gene Therapies, Inc. (1-833-828-3947) si se desarrolla un tumor.

Consulte la **Indicación e Información importante de seguridad** en la **página 27** y la **Información de prescripción completa** que se adjunta.


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

Los niños sobrevivieron sin asistencia respiratoria

En la visita del estudio a los 14 meses de edad,



(20/22)* de **los niños estaban vivos y no necesitaban asistencia respiratoria permanente**

Normalmente, alrededor del 25 % de los niños con AME tipo 1 que no han recibido tratamiento están vivos sin asistencia respiratoria permanente a los 14 meses de edad.

- 1 niño falleció a los 7.8 meses de edad por causas que se consideraron como no relacionadas con el tratamiento
- 1 niño se retiró del estudio a los 11.9 meses de edad y requirió ventilación permanente a los 11 meses de edad antes de abandonar el estudio

*Un niño no era inicialmente parte del conjunto de datos, pero se incluye en el análisis final de los datos.

Los niños podían sentarse sin ayuda



(13/22) de **los niños podían sentarse sin apoyo durante al menos 30 segundos en la visita del estudio a los 18 meses de edad**

Los niños con AME tipo 1 que no reciben tratamiento no son nunca capaces de sentarse de forma independiente.

Información importante de seguridad

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.

Consulte la **Indicación e Información importante de seguridad** en la **página 27** y la **Información de prescripción completa** que se adjunta.

Los niños mantuvieron los hitos durante más de 5 años después del tratamiento con ZOLGENSMA

El estudio clínico START fue el primer estudio de ZOLGENSMA® (onasemnogene abeparvovec-xioi) y ha finalizado. En este estudio se incluyó a 15 niños con síntomas diagnosticados con AME tipo 1 de 8 meses de edad o menos en el momento de la infusión. Los niños se dividieron en 2 grupos. Tres niños del grupo 1 recibieron una dosis baja y 12 niños del grupo 2 recibieron una dosis alta (~dosis terapéutica).

El objetivo principal del estudio era evaluar la seguridad de ZOLGENSMA. Otros criterios de valoración medidos fueron la supervivencia sin eventos (definida como estar vivo sin la necesidad de ventilación asistida permanente, como la traqueostomía o la necesidad de asistencia respiratoria*) y el cambio desde el inicio en CHOP INTEND (o la prueba infantil de trastornos neuromusculares del Children's Hospital of Philadelphia). CHOP INTEND mide el desarrollo motriz de niños con AME tipo 1. Al final del estudio clínico START, los 12 niños del grupo de dosis alta estaban vivos y sin asistencia respiratoria permanente 24 meses después del tratamiento.

El 92 % (11/12) de los niños podían permanecer sentados sin apoyo durante al menos 5 segundos

El 75 % (9/12) de los niños podían permanecer sentados sin apoyo durante al menos 30 segundos

El 92 % (11/12) de los niños alcanzó o mantuvo puntuaciones superiores a 40 puntos en CHOP INTEND

El estudio START de seguimiento a largo plazo (SLP) está diseñado para monitorear la seguridad de ZOLGENSMA durante 15 años. Los resultados del estudio en curso muestran la seguridad y eficacia de ZOLGENSMA hasta 5 años después del tratamiento y 5 años de edad o más. El estudio incluyó a 13 niños del estudio START: 3 niños del grupo 1 (dosis baja) y 10 niños del grupo 2 (dosis alta).

Resultados del estudio para el grupo 2 de START SLP



(10/10) de los niños estaban vivos y no necesitaban asistencia respiratoria permanente (a fecha de mayo de 2022)

(10/10) han mantenido los hitos motores alcanzados al final del estudio START

*≥16 horas de asistencia respiratoria cada día de forma continua durante ≥14 días.

Información importante de seguridad

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.

Consulte la Indicación e Información importante de seguridad en la página 27 y la Información de prescripción completa que se adjunta.


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



“

**Cuando sea mayor,
quiero ser vaquera. Quiero
ponerme mis botas y mi
sombrero y tener un rancho.”**

Evelyn

A Evelyn, tratada con ZOLGENSMA a los ~2 meses de edad y fotografiada a los 4½ años de edad se le diagnosticó AME tipo 1 y participa en el estudio START SLP.

Obtenga más información sobre los hitos alcanzados en el estudio clínico START.

Información importante de seguridad

Después de la infusión con ZOLGENSMA® (onasemnogene abeparvovec-xioi) podría producirse una disminución de los recuentos de plaquetas. Busque atención médica de inmediato si el paciente experimenta sangrado o moretones inesperados.

Consulte la **Indicación e Información importante de seguridad** en la **página 27** y la **Información de prescripción completa** que se adjunta.

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

ZOLGENSMA ayudó a los niños presintomáticos a alcanzar los hitos adecuados para la edad y a sobrevivir sin asistencia respiratoria permanente

El objetivo del estudio SPR1NT era evaluar la eficacia y la seguridad de ZOLGENSMA® (onasemnogene abeparvovec-xioi) en niños menores de 6 semanas de edad y sin síntomas (presintomáticos) de AME. En el estudio se incluyó a 29 niños presintomáticos diagnosticados con AME que tenían 2 o 3 copias del gen de reserva *SMN2*.

La edad media en el momento del tratamiento:

- 2 copias de *SMN2* (14 niños): 20.6 días
- 3 copias de *SMN2* (15 niños): 28.7 días
- Los niños recibieron la dosis terapéutica de ZOLGENSMA (dosis aprobada por la FDA)

Vivo y sin ventilación permanente



(29/29) de los niños estaban vivos y sin asistencia respiratoria permanente

[Ver más resultados del estudio clínico SPR1NT.](#)

Información importante de seguridad

Los efectos secundarios más frecuentes que se produjeron en los pacientes tratados con ZOLGENSMA fueron el aumento de las enzimas hepáticas y los vómitos.

Consulte la [Indicación e Información importante de seguridad en la página 27](#) y la [Información de prescripción completa](#) que se adjunta.

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

Los niños podían sentarse sin ayuda

Los niños alcanzaron los hitos propios de su edad

En el estudio SPR1NT, se utilizó el Bayley-III para determinar las habilidades motrices de los niños en comparación con lo que se espera para los niños en desarrollo no afectados. El estudio WHO-MGRS (World Health Organization Multicentre Growth Reference Study) se utilizó para proporcionar una cronología para el desarrollo de hitos motores en niños no afectados.



(14/14) de **los niños con 2 copias del gen de reserva SMN2 podrían sentarse sin asistencia** (30 segundos o más) según la medición de Bayley-III en cualquier visita hasta los 18 meses de edad

En la historia de la AME tipo 1 (sin tratar), los niños no son capaces de sentarse.

El 79 % (11/14) de los niños logró sentarse sin asistencia dentro de un período de tiempo adecuado para la edad.

Los niños podían mantenerse en pie por sí mismos



(15/15) de **los niños con 3 copias del gen de reserva SMN2 podrían pararse sin asistencia** (3 segundos o más) según la medición de Bayley-III en cualquier visita hasta los 24 meses de edad

El 93 % (14/15) de los niños alcanzó este hito dentro de un período de tiempo adecuado para la edad.

Información importante de seguridad

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.

Consulte la **Indicación e Información importante de seguridad** en la **página 27** y la **Información de prescripción completa** que se adjunta.

PERFIL DE SEGURIDAD DE ZOLGENSMA

“

Esperaba que ZOLGENSMA detuviera el progreso de la enfermedad. Simplemente deténgalo. Y ahora está cumpliendo hitos que antes eran un sueño. Creo que mi pequeña hará cosas que ni siquiera me he imaginado.”

Ciji, madre de Maisie

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. Antes de recibir tratamiento con ZOLGENSMA, Maisie recibió otro tratamiento para la AME.

Mire videos de familiares y escuche a cuidadores compartir sus experiencias. 

Información importante de seguridad

ZOLGENSMA[®] (onasemnogene abeparvovec-xioi) 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.

Consulte la **Indicación e Información importante de seguridad** en la **página 27** y la **Información de prescripción completa** que se adjunta.

Perfil de seguridad

ZOLGENSMA® (onasemnogene abeparvovec-xioi) tiene un perfil de seguridad establecido demostrado en 3 estudios clínicos y 1 estudio de observación de seguimiento a largo plazo.

- **44 niños fueron tratados con ZOLGENSMA y oscilaron en función de la edad de 0.3 a 7.9 meses en el momento de la infusión**
- **Los efectos secundarios más frecuentes (5 % o más) que se produjeron en los niños tratados con ZOLGENSMA fueron aumento de las enzimas hepáticas y los vómitos**
- **Se identificaron informes de pirexia (o fiebre), microangiopatía trombótica (MAT), trombocitopenia, insuficiencia hepática aguda (mortal y no mortal), lesión hepática aguda y aumento de la troponina durante la experiencia posterior a la comercialización**

Actualización de datos de seguridad

A fecha de junio de 2020, 102 niños han sido tratados con ZOLGENSMA por vía intravenosa (i.v.) en estudios clínicos.*

- Los efectos secundarios más frecuentes (5 % o más) que se produjeron en los niños tratados con ZOLGENSMA fueron aumento de las enzimas hepáticas y los vómitos
- Los datos de seguridad siguen recopilándose

*Niños de 5 estudios abiertos, incluidos 2 estudios finalizados y 3 estudios en curso al momento del análisis: START (completado, N = 15), STR1VE (completado, N = 22), STR1VE-EU (en curso, N = 33), STR1VE-AP (en curso, N = 2), SPR1NT (en curso, N = 30). Tres niños del estudio START recibieron una dosis más baja.

Información importante de seguridad

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.

Consulte la **Indicación e Información importante de seguridad en la página 27** y la **Información de prescripción completa** que se adjunta.



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

Indicación e información de seguridad importante

¿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](#).

“

Nuestro Embajador de la familia fue de vital importancia para ayudarnos a abordar las preguntas que teníamos antes, durante y después del tratamiento. Fue reconfortante poder hablar con alguien a lo largo del proceso.”

Annie, madre de Quinn

A Quinn, tratada con ZOLGENSMA a los ~15 meses de edad y fotografiada a los 2½ años de edad, se le diagnosticó AME tipo 2.