

Departamento de Registro Farmacéutico

ZOLGENSMA[®] (onasemnogén abeparvovec)
Solución para perfusión intravenosa

Prospecto para el paciente

Versión 2.1

Fecha de entrada en vigor: 6 de agosto de 2024
N.º de referencia (SLC): 2024-PSB/GLC-1431-s
Versión del documento: Última

Propiedad de Novartis Gene Therapies
Confidencial
No se usará, divulgará, publicará ni dará a conocer
sin el consentimiento de Novartis Gene Therapies

Lea todo el prospecto detenidamente antes de que su hijo reciba este medicamento, porque contiene información importante.

Conserve este prospecto. Puede que necesite leerlo de nuevo.

Si algún efecto secundario afecta mucho a su hijo o si nota algún efecto secundario no mencionado en este prospecto, dígaselo al médico o profesional sanitario que atiende a su hijo.

Si tiene alguna duda, consulte al médico o al profesional sanitario que atiende a su hijo.

Contenido de este prospecto

1	Qué es ZOLGENSMA [®] y para qué se utiliza	2
2	Qué debe saber antes y después del tratamiento con Zolgensma.....	3
3	Cómo se administra Zolgensma	5
4	Posibles efectos secundarios.....	6
5	Conservación de Zolgensma.....	6
6	Contenido del envase y otras informaciones	7

1 Qué es ZOLGENSMA[®] y para qué se utiliza

Qué es Zolgensma[®]

Zolgensma es un tipo de medicamento llamado «terapia génica». Contiene la sustancia activa onasemnogén abeparvovec, que incluye material genético humano.

Para qué se utiliza Zolgensma

Zolgensma se utiliza para tratar bebés y niños pequeños (menores de 2 años) que padecen una enfermedad hereditaria rara y grave llamada «atrofia muscular espinal» (AME).

Cómo actúa Zolgensma

La atrofia muscular espinal se produce cuando falta o hay una versión anormal de un gen necesario para producir una proteína esencial llamada «proteína de supervivencia motoneuronal» (SMN). La ausencia de proteína SMN hace que se mueran los nervios que controlan los músculos (las motoneuronas o neuronas motoras), con lo que los músculos se debilitan y atrofian, para finalmente perder la capacidad de movimiento.

Zolgensma actúa aportando una copia totalmente funcional del gen SMN, que ayudará al organismo a producir suficiente proteína SMN. El gen se suministra a las células en las que se necesita usando un virus modificado que no provoca enfermedades en el ser humano.

Si desea saber cómo actúa Zolgensma o por qué se le ha recetado este medicamento a su hijo, pregunte al médico o profesional sanitario que lo atiende.

2 Qué debe saber antes y después del tratamiento con Zolgensma

Siga al pie de la letra todas las instrucciones del médico, que pueden diferir de la información general contenida en este prospecto.

Advertencias y precauciones

El médico de su hijo hará análisis de anticuerpos antes del tratamiento para poder decidir si el medicamento es adecuado para su hijo.

Si alguno de estos problemas afecta a su hijo, dígaselo al médico o profesional sanitario que lo atiende:

- **Si su hijo ha tenido problemas hepáticos (en el hígado).** Zolgensma puede provocar una respuesta inmunitaria que causaría un aumento de las enzimas producidas por el hígado o una lesión hepática. Las lesiones hepáticas pueden tener consecuencias graves, como insuficiencia hepática y muerte. Algunos de los posibles signos a los que debe prestar atención después de que su hijo reciba este medicamento son vómitos, ictericia (amarilleamiento de la piel o del blanco de los ojos) o una disminución del estado de alerta. Si observa que su hijo presenta algún síntoma indicativo de una lesión en el hígado, comuníquese de inmediato a su médico. Antes de iniciar el tratamiento con Zolgensma, su hijo se someterá a un análisis de sangre para comprobar su función hepática. También se le harán análisis de sangre con regularidad durante al menos 3 meses después del tratamiento para vigilar los aumentos de las enzimas hepáticas. Encontrará más información en el apartado 4.
- **Si su hijo presenta una infección (como resfriado, gripe o bronquiolitis) antes o después del tratamiento con Zolgensma,** podrían producirse complicaciones más graves. Los cuidadores y los contactos estrechos del paciente deberán respetar las medidas de prevención de infecciones (por ejemplo, la higiene de las manos, las precauciones al toser o estornudar y la limitación de posibles contactos). Entre los signos de una posible infección que debe buscar en su hijo están tos, pitos en la respiración, estornudos, moqueo, dolor de garganta o fiebre. Si observa que su hijo presenta algún síntoma indicativo de infección **antes o después** del tratamiento con Zolgensma, comuníquese de inmediato a su médico.
- **Si su hijo presenta moretones o sangrado anormales después de que se le haya administrado Zolgensma.** Zolgensma puede reducir la cifra de plaquetas en la sangre (trombocitopenia). Este problema se ha observado generalmente en las dos semanas posteriores al tratamiento con Zolgensma. Antes de iniciar el tratamiento con Zolgensma, a su hijo le harán un análisis de sangre para comprobar esa cifra. También le harán análisis de sangre con regularidad durante cierto tiempo después del tratamiento para vigilar los cambios en las cantidades de plaquetas. Encontrará más información en el apartado 4.
- **Si a su hijo se le forman moretones con facilidad o presenta convulsiones (crisis) o disminución de la producción de orina después de que se le haya administrado Zolgensma, solicite atención médica urgente.** La coagulación anormal de la sangre en los vasos sanguíneos pequeños (microangiopatía trombótica) se acompaña de una disminución de los glóbulos rojos y las células que intervienen en la coagulación (las plaquetas). Estos coágulos de sangre podrían afectar a los riñones de su hijo. Este problema se ha observado

generalmente en las dos semanas posteriores al tratamiento con Zolgensma. Antes de empezar el tratamiento con Zolgensma, a su hijo le harán un análisis de sangre para comprobar la cifra de células sanguíneas (incluidos los glóbulos rojos y las plaquetas) y la concentración de creatinina, que es un indicador del funcionamiento de los riñones. Es posible que, después del tratamiento con Zolgensma, el médico considere necesario analizar la sangre de su hijo (para determinar la cifra de plaquetas) y comprobar la tensión arterial. Encontrará más información en el apartado 4.

- **Si su hijo tiene la piel de color grisáceo o azulado, muestra dificultad para respirar (p. ej., respiración rápida, falta de aliento) en reposo o en actividad, se cansa fácilmente o suda mientras se está alimentando después de que se le haya administrado Zolgensma.** Zolgensma puede elevar los niveles de una proteína específica del corazón llamada «troponina I». Si observa que su hijo presenta alguno de los síntomas anteriores, que son signos de posibles problemas cardíacos, informe inmediatamente al médico que atiende al niño. Encontrará más información en el apartado 4.
- **Si su hijo presenta efectos secundarios relacionados con la perfusión durante la perfusión de Zolgensma o poco después.** Los signos y síntomas pueden consistir en una erupción, ronchas, vómitos, dificultad para respirar, falta de aliento, cambios en la frecuencia cardíaca y la tensión arterial. Si su hijo presenta estos u otros signos o síntomas nuevos durante la perfusión o poco después, informe inmediatamente al médico o profesional sanitario que atiende al niño. Antes de que su hijo reciba el alta, el médico le proporcionará a usted información sobre cómo actuar en caso de que su hijo presente efectos secundarios nuevos o los anteriores reaparezcan una vez fuera del centro médico.

Uso de otros fármacos (interacciones con otros medicamentos, incluidos los productos biológicos y las vacunas)

Informe al médico o profesional sanitario que atiende a su hijo si este está recibiendo, ha recibido recientemente o podría tener que recibir otros medicamentos, incluidos los de venta sin receta.

- **Prednisolona:** Su hijo recibirá también un medicamento llamado «prednisolona» durante cierto tiempo (véase también el apartado 3) como parte de su tratamiento con Zolgensma. Es un tipo de medicamento llamado «corticoide» o «corticoesteroide» que ayudará a controlar cualquier posible aumento de las enzimas hepáticas que su hijo pudiera presentar después de recibir Zolgensma. El médico de su hijo decidirá si este debe recibir prednisolona u otro corticoide.
- **Vacunas:** Como los corticoides pueden afectar al sistema inmunitario, puede que el médico que atiende a su hijo opte por demorar la administración de algunas vacunas mientras el niño esté en tratamiento con prednisolona u otro corticoide. Si tiene alguna duda, hable con el médico o el profesional sanitario que atiende a su hijo.

Si no sabe con seguridad si el medicamento de su hijo es uno de los mencionados más arriba, pregunte al médico o profesional sanitario que lo atiende.

Información adicional para padres y cuidadores

AME avanzada

Zolgensma puede recuperar las motoneuronas viables, pero no las motoneuronas muertas. Los niños con síntomas de AME menos severos (como ausencia de reflejos o disminución del tono muscular) podrían tener suficientes motoneuronas vivas como para poder beneficiarse del tratamiento con Zolgensma. El medicamento podría no funcionar igual de bien en los niños que tienen una debilidad muscular severa o problemas respiratorios, necesitan un respirador permanentemente o no son capaces de tragar. El médico de su hijo decidirá si debe recibir este medicamento.

Riesgo teórico de tumores asociado a la posible inserción en el DNA

Existe la posibilidad de que medicamentos como Zolgensma se inserten en el DNA de las células del cuerpo humano. Por lo tanto, Zolgensma podría contribuir a un riesgo de tumores debido a la naturaleza del medicamento.

Medidas de higiene

Es probable que la sustancia activa de Zolgensma se excrete temporalmente en los excrementos de su hijo. Los padres y cuidadores deben mantener una buena higiene de manos durante al menos un mes después de que el niño reciba Zolgensma. Utilice guantes de protección cuando entre en contacto directo con los líquidos corporales o excrementos de su hijo y lávese concienzudamente las manos con jabón y agua caliente o con una solución hidroalcohólica. Para desechar los pañales sucios se deben usar bolsas de basura desechables. Los pañales desechables se pueden tirar a la basura normal.

Debe seguir estas instrucciones durante al menos un mes después de que su hijo reciba tratamiento con Zolgensma. Si tiene alguna duda, hable con el médico o el profesional sanitario que atiende a su hijo.

3 Cómo se administra Zolgensma

Será un médico o un profesional sanitario quien administre Zolgensma a su hijo.

El médico de su hijo determinará la cantidad de Zolgensma que se le administrará según su peso. La dosis de Zolgensma se mide en unidades llamadas «genomas vectoriales».

La dosis recomendada de Zolgensma es de $1,1 \times 10^{14}$ genomas vectoriales (gv) por kilo (kg) de peso. Esta dosis se le administrará a su hijo por vía intravenosa (en una vena) mediante una única perfusión (gotero) durante aproximadamente una hora.

Se le administrará Zolgensma a su hijo SOLO una vez.

Su hijo también recibirá tratamiento con prednisolona (u otro corticoide) por vía oral, empezando 24 horas antes de recibir Zolgensma. La dosis de corticoide también dependerá del peso de su hijo. La dosis recomendada de prednisolona es de 1 mg por kg de peso al día. El médico de su hijo determinará la dosis total de corticoide que se le administrará.

Su hijo recibirá tratamiento con corticoides a diario durante aproximadamente 2 meses después de que se le administre Zolgensma o hasta que las enzimas hepáticas elevadas disminuyan hasta un nivel aceptable. La dosis de corticoide administrada a su hijo se reducirá lentamente hasta que se pueda dejar por completo el tratamiento. El médico de su hijo le explicará cuándo y cómo dejar este tratamiento.

Si tiene alguna duda sobre el uso de Zolgensma o la prednisolona, consulte al médico o al profesional sanitario que atiende a su hijo.

4 Posibles efectos secundarios

Como todos los medicamentos, Zolgensma puede causar efectos secundarios, aunque no todos los pacientes los presentan.

Algunos efectos secundarios podrían ser graves

Si su hijo presenta alguno de los efectos secundarios graves siguientes, **solicite atención médica urgente**:

Frecuentes: *pueden afectar a hasta 1 de cada 10 personas.*

- Moretones o sangrado durante más tiempo de lo habitual si su hijo sufre una herida; pueden ser signos de una cifra de plaquetas baja.

Frecuencia desconocida: *los datos disponibles no permiten estimar su frecuencia.*

- Formación de moretones con facilidad, convulsiones (crisis), disminución de la producción de orina; pueden ser signos de microangiopatía trombótica.
- Vómitos, ictericia (amarilleamiento de la piel o del blanco de los ojos) o disminución del estado de alerta; pueden ser signos de lesión en el hígado (incluida una insuficiencia hepática).
- Erupción, ronchas, vómitos, dificultad para respirar, falta de aliento y/o cambios de la frecuencia cardíaca y la tensión arterial durante la perfusión o poco después; pueden ser signos y síntomas de una reacción relacionada con la perfusión.

Otros posibles efectos secundarios

Si su hijo presenta algún otro efecto secundario, hable con el médico o el profesional sanitario que lo atiende. Estos efectos pueden ser:

Muy frecuentes: *pueden afectar a más de 1 de cada 10 personas.*

- Aumentos de las enzimas hepáticas que se detectan en los análisis de sangre.

Frecuentes: *pueden afectar hasta 1 de cada 10 personas.*

- Vómitos
- Fiebre
- Elevaciones de la troponina I (una proteína del corazón) que se detectan en los análisis de sangre

Si nota algún efecto secundario no mencionado en este prospecto, dígaselo al médico o al profesional sanitario que atiende a su hijo.

5 Conservación de Zolgensma

- Mantenga este medicamento fuera de la vista y del alcance de los niños.

- No utilice este medicamento después de la fecha de caducidad, que figura en la etiqueta del vial y en la caja.
- Los viales se transportarán congelados (a $-60\text{ }^{\circ}\text{C}$ o una temperatura más baja).
- Una vez recibido, el kit debe colocarse inmediatamente en el refrigerador a una temperatura de entre $2\text{ }^{\circ}\text{C}$ y $8\text{ }^{\circ}\text{C}$.
- No vuelva a congelarlo.
- El tratamiento con Zolgensma debe iniciarse en el plazo de 14 días desde la recepción de los viales.
- Específicas de cada país: condiciones de conservación, según el envase.

6 Contenido del envase y otras informaciones

Contenido de Zolgensma

La **sustancia activa** de Zolgensma es el onasemnogén abeparvovec. Cada vial contiene onasemnogén abeparvovec con una concentración nominal de 2×10^{13} gv/ml.

Los **otros componentes** de Zolgensma son trometamina, cloruro de magnesio, cloruro de sodio, poloxámero 188, ácido clorhídrico (para ajustar el pH) y agua para inyectables.

Esta información puede diferir en algunos países.

Presentación de Zolgensma y contenido del envase

Zolgensma es una solución para perfusión límpida o ligeramente opaca, de incolora y blanca tenue, exenta de partículas visibles.

El kit de Zolgensma se presenta en dos tamaños de viales (5,5 u 8,3 ml). Cada vial es únicamente para un solo uso.

Esta información puede diferir en algunos países.

Titular de la autorización de comercialización

Novartis Chile S.A.

Fabricante

Ver envase secundario.

Este prospecto fue aprobado en: Dic-2024

Si tiene alguna duda sobre este medicamento, consulte al médico o al farmacéutico.

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

Tracking number: 2024-PSB/GLC-1431-s

Importado por Novartis Chile S.A.
Rosario Norte 615, piso 8. Las Condes. Santiago de Chile.