

## Renseignements destinés aux patient·e·s

### LISEZ CE DOCUMENT POUR UNE UTILISATION SÉCURITAIRE ET EFFICACE DE VOTRE MÉDICAMENT

Pr **ZOLGENSMA<sup>MD</sup>**

#### **Onasemnogène abéparvovec**

Ces Renseignements destinés aux patient·e·s sont rédigés pour votre enfant qui recevra **Zolgensma<sup>MD</sup>**. Lisez attentivement ces renseignements. Conservez-les, car vous devrez peut-être les relire.

Ces Renseignements destinés aux patient·e·s sont un résumé. Ils ne sont pas complets. Si vous avez des questions au sujet de ce médicament ou si vous souhaitez obtenir de plus amples renseignements au sujet de **Zolgensma**, adressez-vous à un professionnel de la santé.

#### **À quoi sert Zolgensma :**

Zolgensma est un type de médicament appelé *thérapie génique*. L'ingrédient actif qu'il contient, l'onasemnogène abéparvovec, renferme du matériel génétique humain.

Zolgensma est utilisé pour traiter les bébés et les jeunes enfants qui souffrent d'une maladie héréditaire rare, mais grave, appelée *amyotrophie spinale (AS)*.

#### **Comment fonctionne Zolgensma :**

Zolgensma fournit une copie pleinement fonctionnelle du gène de survie du motoneurone 1 (*SMN1*), ce qui aide les cellules à produire la protéine SMN nécessaire à la survie des nerfs qui commandent les muscles (motoneurones). Les patients traités par Zolgensma ont obtenu des améliorations par rapport à l'évolution habituelle de l'AS. Le traitement leur a évité la mort ou un besoin permanent d'aide pour respirer, et leur a permis d'atteindre des étapes importantes du développement moteur (p. ex. maîtrise de la tête, position assise et position debout).

#### **Les ingrédients de Zolgensma sont :**

Ingrédient médicinal : onasemnogène abéparvovec

Ingrédients non médicinaux : acide chlorhydrique (pour équilibrer le pH), chlorure de magnésium, chlorure de sodium, eau pour injection, poloxamère 188, trométhamine.

#### **Zolgensma se présente sous la ou les formes pharmaceutiques suivantes :**

Zolgensma est une solution limpide ou légèrement trouble, administrée en perfusion (goutte à goutte dans une veine). Chaque flacon de Zolgensma contient de l'onasemnogène abéparvovec à une concentration nominale de  $2 \times 10^{13}$  vg/mL.

#### **N'utilisez pas Zolgensma dans les cas suivants :**

Votre enfant est allergique à l'onasemnogène abéparvovec ou à tout autre ingrédient mentionné dans le présent feuillet.

**Consultez votre professionnel de la santé avant que votre enfant reçoive Zolgensma, afin d'assurer l'utilisation adéquate du médicament et d'aider à éviter les effets secondaires. Informez votre professionnel de la santé de toutes les maladies et de tous les problèmes de santé de votre enfant.**

## Mises en garde :

Avant de procéder au traitement, le professionnel de la santé vérifiera si le sang de votre enfant contient des anticorps dirigés contre une partie de ce médicament afin de déterminer si ce médicament lui convient.

### Troubles du foie

Si votre enfant a déjà souffert de troubles du foie, discutez-en avec le professionnel de la santé avant que votre enfant reçoive ce médicament. Zolgensma peut entraîner une réponse immunitaire qui pourrait endommager le foie. Une lésion du foie peut entraîner des complications graves, y compris une insuffisance hépatique et la mort. Les signes possibles que vous devrez surveiller après que votre enfant ait reçu ce médicament sont les suivants : vomissements, jaunisse (jaunissement de la peau ou du blanc des yeux) ou baisse de la vigilance (voir la rubrique **Effets secondaires possibles de l'utilisation de Zolgensma** pour obtenir plus de détails). Communiquez avec le professionnel de la santé sans tarder si vous remarquez la présence de symptômes faisant penser à une lésion du foie. On effectuera une analyse de sang pour vérifier la fonction hépatique de votre enfant avant de commencer le traitement par Zolgensma. Des analyses de sang seront effectuées régulièrement pendant au moins 3 mois après que votre enfant ait reçu Zolgensma, afin de vérifier s'il y a augmentation des enzymes hépatiques.

Du matériel éducatif relatif aux risques de troubles du foie, destiné aux proches aidants, peut être obtenu auprès du fabricant.

### Infections

Si votre enfant contracte une infection (comme un rhume, la grippe ou une bronchiolite) avant ou après le traitement par Zolgensma, il risque de présenter des problèmes encore plus graves pouvant mettre sa vie en danger. Les personnes qui s'occupent du patient et celles qui sont en contact étroit avec lui doivent suivre des mesures de prévention des infections (p. ex. hygiène des mains, protocoles d'hygiène respiratoire et en cas de toux, restriction des contacts potentiels). Vous devez surveiller l'apparition de tout signe d'une possible infection, comme une toux, une respiration sifflante, des éternuements, un écoulement nasal, un mal de gorge ou de la fièvre. Communiquez avec le professionnel de la santé sans tarder si vous remarquez chez votre enfant la présence de signes évoquant une infection **avant** ou **après** le traitement par Zolgensma.

### Risque de saignement et de problèmes de coagulation du sang

Zolgensma peut abaisser le nombre de plaquettes, un certain type de cellule, dans le sang (un trouble appelé *thrombocytopénie*). On a observé que ce trouble survient généralement dans les deux premières semaines suivant le traitement par Zolgensma. Après l'administration de Zolgensma, les signes possibles d'une baisse du nombre de plaquettes à surveiller chez votre enfant sont notamment une tendance anormale aux ecchymoses (« bleus »), la présence de sang dans l'urine ou les selles et des saignements de nez (voir la rubrique **Effets secondaires possibles de l'utilisation de Zolgensma** pour obtenir plus de détails).

Des problèmes de coagulation du sang (caillots de sang) dans les petits vaisseaux sanguins (une affection grave et pouvant mettre la vie en danger appelée *microangiopathie thrombotique*) ont été signalés chez certains patients, généralement dans les deux premières semaines suivant le traitement par Zolgensma. Ces problèmes sont survenus en même temps qu'une baisse du nombre de globules rouges et du nombre de cellules qui permettent la coagulation (plaquettes sanguines) du sang. Ces caillots pourraient endommager les reins de votre enfant. Avant de commencer le traitement par Zolgensma, on fera une prise de sang à votre enfant pour vérifier le nombre de ses cellules sanguines (notamment les globules rouges et les plaquettes) et le taux de créatinine dans son sang, qui est un indicateur du fonctionnement

des reins. Après le traitement par Zolgensma, le professionnel de la santé de votre enfant pourrait vérifier les cellules sanguines (plaquettes) et la tension artérielle de votre enfant. Obtenez de l'aide médicale d'urgence si des ecchymoses apparaissent facilement chez votre enfant, s'il présente des convulsions ou de la fièvre ou s'il urine moins que d'habitude après le traitement par Zolgensma (voir la rubrique **Effets secondaires possibles de l'utilisation de Zolgensma** pour obtenir plus de détails).

Du matériel éducatif relatif aux risques de thrombocytopénie et de microangiopathie thrombotique, destiné aux proches aidants, peut être obtenu auprès du fabricant.

#### Problèmes cardiaques

Zolgensma peut augmenter le taux sanguin d'une protéine spécifique du cœur appelée *troponine I*. Une telle hausse pourrait indiquer la présence d'une lésion au cœur. Vous devez rester à l'affût de signes comme une coloration grisâtre ou bleutée de la peau, une difficulté à respirer (p. ex., respiration rapide, essoufflement) au repos ou à l'effort, une fatigue qui survient facilement ou une transpiration pendant l'alimentation, et une enflure des bras, des jambes ou de l'abdomen après que votre enfant a reçu Zolgensma. Informez immédiatement le médecin de votre enfant si vous remarquez l'apparition de l'un des symptômes ci-dessus, qui peuvent être des signes de problèmes cardiaques potentiels (voir la rubrique **Effets secondaires possibles de l'utilisation de Zolgensma** pour obtenir plus de détails).

#### Effets secondaires liés à la perfusion

Des effets secondaires liés à la perfusion pouvant mettre la vie en danger, y compris des réactions allergiques graves (anaphylaxie) sont survenus pendant et/ou peu de temps après la perfusion de Zolgensma. Les signes et symptômes de ces réactions peuvent inclure : éruption cutanée, urticaire, vomissements, bouffées vasomotrices (rougeur du visage), frissons, enflure de la bouche, de la langue ou du visage, difficulté à respirer, essoufflement et modification de la fréquence cardiaque et de la tension artérielle. Avertissez le médecin de votre enfant ou votre professionnel de la santé immédiatement si votre enfant présente ces effets ou tout autre nouveau signe ou symptôme pendant la perfusion ou peu de temps après celle-ci. Votre enfant pourrait recevoir des médicaments supplémentaires en vue de traiter les signes et symptômes de cet effet secondaire. Avant que votre enfant reçoive son congé, le médecin vous indiquera ce que vous devez faire si votre enfant éprouve de nouveaux effets secondaires ou des effets secondaires qui surviennent de nouveau après votre départ du centre médical.

#### Risque de tumeur lié à une intégration possible de l'ADN de la thérapie génique dans l'ADN du patient

Il a été démontré que l'ADN de Zolgensma s'introduit dans l'ADN des cellules corporelles des patients. Zolgensma pourrait donc s'accompagner d'un risque tumoral. Des tumeurs se sont formées chez certains patients traités par Zolgensma, mais pour le moment, rien n'indique avec certitude que c'est Zolgensma qui est à l'origine de ces tumeurs. Vous devriez en discuter avec le médecin de votre enfant. Si une tumeur se développe chez votre enfant, son médecin pourrait décider d'en prélever un échantillon pour mieux l'évaluer.

#### **Renseignements supplémentaires à l'intention des parents ou de l'aidant :**

##### Analyses sanguines régulières

On fera une prise de sang à votre enfant avant de lui administrer Zolgensma pour vérifier le fonctionnement de son foie. On lui prélèvera d'autres échantillons de sang à intervalles réguliers

pendant au moins 3 mois après le traitement par Zolgensma afin de surveiller toute augmentation des taux d'enzymes hépatiques.

Avant de commencer le traitement par Zolgensma, on fera une prise de sang à votre enfant pour vérifier le nombre de ses cellules sanguines (notamment les globules rouges et les plaquettes), ainsi que les taux de créatinine dans son sang. Après le traitement, on prélèvera d'autres échantillons du sang de votre enfant à intervalles réguliers pendant au moins 3 mois afin de surveiller tout changement possible dans le nombre de plaquettes. Les taux de troponine I peuvent également être vérifiés.

#### AS au stade avancé

Zolgensma peut « sauver » les motoneurones vivants, mais ne peut pas faire revivre ceux qui sont déjà morts. Les enfants qui présentent des symptômes légers ou modérés de l'AS (comme l'absence de réflexes ou une perte de tonus musculaire) pourraient avoir assez de motoneurones vivants pour que le traitement par Zolgensma leur procure des bienfaits importants. Zolgensma ne fonctionnera peut-être pas aussi bien chez les enfants qui présentent une grave faiblesse musculaire ou une paralysie, qui ont des problèmes respiratoires et sont incapables d'avaler ou qui ont une importante malformation (comme une anomalie cardiaque). Les chances d'obtenir des améliorations avec un traitement par Zolgensma semblent moins bonnes quand ces signes sont présents. Le professionnel de la santé déterminera si votre enfant devrait recevoir Zolgensma.

#### Soins d'hygiène

Votre enfant éliminera la substance active contenue dans Zolgensma dans ses déchets corporels (selles, urine). En tant que parents/personnes prenant soin de votre enfant, vous devez suivre des mesures d'hygiène additionnelles pendant au moins 1 mois après l'administration de Zolgensma à votre enfant. Portez des gants de protection lorsque vous entrez en contact direct avec l'urine ou les selles de votre enfant et lavez-vous ensuite soigneusement les mains à l'eau chaude savonneuse ou avec un désinfectant pour les mains à base d'alcool. Utilisez un sac doublé pour jeter les couches souillées et autres déchets. Les couches jetables peuvent quand même être mises dans les ordures ménagères. Il ne faut pas employer de couches réutilisables pendant le premier mois qui suit le traitement par Zolgensma.

Communiquez avec le médecin ou l'infirmière de votre enfant si vous avez des questions.

**Mentionnez à votre professionnel de la santé toute la médication utilisée par votre enfant, y compris : médicaments, vitamines, minéraux, suppléments naturels ou produits de médecine douce.**

À ce jour, il n'y a aucun médicament connu pour interagir avec Zolgensma.

#### Prednisolone

Votre enfant sera également traité par un médicament appelé *prednisolone* (voir la rubrique **Comment Zolgensma est administré**) avant et après son traitement par Zolgensma. La prednisolone est un type de médicament appelé *corticostéroïde* qui aidera à traiter les dommages au foie qui pourraient survenir après l'administration de Zolgensma. Le professionnel de la santé décidera si votre enfant doit être traité par de la prednisolone ou un autre corticostéroïde.

#### Vaccination

Comme les corticostéroïdes peuvent perturber le système immunitaire, **le professionnel de la santé pourrait décider de retarder l'administration de certains vaccins** pendant la période où votre enfant

reçoit la prednisolone ou un autre corticostéroïde. Communiquez avec le professionnel de la santé de votre enfant si vous avez des questions.

#### **Comment Zolgensma est administré :**

Zolgensma sera administré par un professionnel de la santé ayant reçu une formation sur l'administration d'une thérapie génique dans le traitement de l'AS.

Votre enfant recevra Zolgensma par voie intraveineuse (dans une veine) sous forme d'une perfusion (goutte à goutte) unique sur une période de 1 heure.

#### **Dose habituelle :**

La quantité de Zolgensma que votre enfant recevra sera calculée en fonction de son poids. La dose est calculée en unités appelées *génomés de vecteur*.

La dose recommandée est de  $1,1 \times 10^{14}$  génomés de vecteur par kilogramme (kg) de poids corporel.

#### **Zolgensma sera administré UNE SEULE FOIS à votre enfant.**

Votre enfant recevra également un traitement par de la prednisolone (ou un autre corticostéroïde) par voie orale (par la bouche). Ce traitement débutera 24 heures avant l'administration de Zolgensma. La dose de prednisolone dépendra du poids de votre enfant. La dose quotidienne recommandée est de 1 mg par kg de poids corporel. Le professionnel de la santé de votre enfant calculera la bonne dose totale à administrer à votre enfant.

Après le traitement par Zolgensma, votre enfant recevra de la prednisolone tous les jours pendant environ 2 mois jusqu'à ce que ses taux d'enzymes hépatiques redescendent à un niveau acceptable. La dose de prednisolone administrée à votre enfant sera réduite progressivement jusqu'à ce que le traitement puisse être complètement arrêté. **Le traitement par la prednisolone ne doit pas être arrêté brusquement.** Le professionnel de la santé de votre enfant vous expliquera quand et comment il mettra fin à ce traitement pour votre enfant.

Si vous avez des questions au sujet de l'utilisation de Zolgensma ou de la prednisolone, veuillez les poser au professionnel de la santé de votre enfant.

#### **Surdose :**

Il n'existe aucune donnée sur le surdosage de Zolgensma.

Si vous pensez que votre enfant a reçu une trop grande quantité de Zolgensma, contactez immédiatement son professionnel de la santé, le service des urgences d'un hôpital, votre centre antipoison régional ou le numéro sans frais de Santé Canada, 1-844 POISON-X (1-844-764-7669), même si votre enfant ne présente pas de symptômes.

#### **Dose oubliée :**

Si votre enfant ne peut recevoir Zolgensma au moment prévu, parlez-en avec son professionnel de la santé afin que Zolgensma puisse être administré dès que possible.

## Effets secondaires possibles de l'utilisation de Zolgensma :

Comme tous les médicaments, Zolgensma peut causer des effets secondaires, mais pas nécessairement chez tous les patients.

Consultez le médecin ou l'infirmière de votre enfant si des effets secondaires apparaissent. Ceux-ci peuvent comprendre :

### Très fréquents (pouvant toucher plus de 1 personne sur 10)

- Augmentation des taux d'enzymes hépatiques (aminotransférases) décelée lors des analyses sanguines
- Fièvre

### Fréquents (pouvant toucher jusqu'à 1 personne sur 10)

- Vomissements
- Diminution du nombre de plaquettes décelée lors des analyses sanguines
- Élévation du taux de troponine I (protéine du cœur) décelée lors des analyses sanguines

Lorsque Zolgensma sera administré à votre enfant, il est possible que celui-ci ressente des effets secondaires qui ne sont pas mentionnés ci-dessous. Si c'est le cas, communiquez avec son professionnel de la santé.

Effets secondaires graves et mesures à prendre à leur égard			
Fréquence/effet secondaire/symptôme	Consultez votre professionnel de la santé.		Obtenez de l'aide médicale immédiatement
	Dans les cas sévères seulement	Dans tous les cas	
<b>FRÉQUENTS</b>			
<b>Thrombocytopénie</b> (faible nombre de plaquettes) : Ecchymoses (« bleus ») ou saignements qui durent plus longtemps que d'habitude si votre enfant se blesse, sang dans l'urine ou les selles, saignements de nez			√
<b>Problèmes cardiaques</b> : Coloration grisâtre ou bleutée de la peau, difficulté à respirer (p. ex. respiration rapide ou essoufflement), enflure des bras, des jambes ou de l'abdomen			√
<b>FRÉQUENCE INCONNUE</b>			
<b>Microangiopathie thrombotique</b> (formation anormale de caillots dans les petits vaisseaux sanguins) : Ecchymoses qui apparaissent facilement, convulsions, diminution de la quantité d'urine			√

Effets secondaires graves et mesures à prendre à leur égard			
Fréquence/effet secondaire/symptôme	Consultez votre professionnel de la santé.		Obtenez de l'aide médicale immédiatement
	Dans les cas sévères seulement	Dans tous les cas	
<b>Atteinte/insuffisance hépatique :</b> Vomissements, peau ou yeux jaunâtres, irritabilité/humeur grincheuse, abdomen enflé, augmentation anormale du sommeil			√
<b>Réaction liée à la perfusion :</b> Éruption cutanée, urticaire, vomissements, bouffées vasomotrices (rougeur du visage), enflure de la bouche, de la gorge ou du visage, difficulté à respirer, essoufflement et/ou modification de la fréquence cardiaque ou de la tension artérielle pendant et/ou peu de temps après la perfusion			√

Si votre enfant présente un symptôme ou un effet secondaire incommodant qui n'est pas mentionné ici ou qui s'aggrave au point de perturber ses activités quotidiennes, consultez son professionnel de la santé.

#### Déclaration des effets secondaires

Vous pouvez déclarer à Santé Canada des effets secondaires soupçonnés d'être associés à l'utilisation des produits de santé de l'une des deux façons suivantes :

- En consultant la page Web sur la déclaration des effets indésirables ([Canada.ca/medicament-instrument-declaration](https://canada.ca/medicament-instrument-declaration)) pour savoir comment faire une déclaration en ligne, par courrier, ou par télécopieur; ou
- En téléphonant sans frais au 1-866-234-2345.

*Remarque : Consultez votre professionnel de la santé si vous souhaitez obtenir des renseignements sur la prise en charge des effets secondaires. Le Programme Canada Vigilance ne donne pas de conseils médicaux.*

#### Conservation :

La gestion et la conservation de Zolgensma sont assurées par les professionnels de la santé. Voici quelques renseignements et consignes sur l'entreposage de Zolgensma :

- Les flacons sont expédiés à l'état congelé (à une température de -60 °C ou moins).

- Les flacons doivent être placés au réfrigérateur (à une température de 2 à 8 °C) dans leur emballage d'origine dès leur réception. Le traitement par Zolgensma doit être administré dans les 14 jours suivant la réception des flacons.
- Ce médicament ne doit pas être utilisé après la date de péremption (EXP) indiquée sur le flacon et sur la boîte. La date de péremption correspond au dernier jour du mois indiqué.
- Garder hors de la portée et de la vue des enfants.

**Pour en savoir plus sur Zolgensma :**

- Parlez-en avec votre professionnel de la santé.
- Consultez la monographie intégrale rédigée à l'intention des professionnels de la santé, qui renferme également les Renseignements destinés aux patient·e·s. Ce document se trouve sur le site Web de Santé Canada ([Base de données sur les produits pharmaceutiques : Accéder à la base de données](#)) et sur le site Web du fabricant (<https://www.novartis.ca>) ou peut être obtenu en téléphonant au 1-800-363-8883.

Le présent feuillet été rédigé par Novartis Pharma Canada inc.

Date d'approbation : 2025-11-21

ZOLGENSMA est une marque déposée.