Guide d'information Zolgensma®▼ (onasemnogene abeparvovec) à destination des familles et aidants

Le médecin de votre enfant vous a remis ce guide parce que Zolgensma® lui a été prescrit.
Ce guide vise à fournir des informations pratiques afin de faciliter vos discussions avec le médecin de votre enfant. Vous devez en prendre connaissance, de même que la notice fournie avec ce médicament.

▼ Zolgensma® fait l'objet d'une surveillance supplémentaire qui permettra l'identification rapide de nouveaux effets indésirables. Si votre enfant présente un quelconque effet indésirable, parlez-en immédiatement à son médecin, son infirmier/ère, son pharmacien ou tout autre professionnel de santé.
Ceci s'applique aussi à tout effet indésirable qui ne serait pas mentionné dans ce guide ou dans la notice.

Pour toute question ou préoccupation concernant Zolgensma®, parlez-en au médecin, à l'infirmier/ère, au pharmacien ou à tout autre professionnel de santé qui prend en charge votre enfant.

NOVARTIS

Diffusé sous l'autorité de l'ANSM

FA-11678721 | Version 6 - 10/2026

Ce guide a été conçu pour fournir des informations utiles et importantes sur la sécurité et les effets indésirables éventuels de Zolgensma® et sur les différentes étapes du traitement par Zolgensma®.

Pour toute question ou préoccupation concernant Zolgensma®, parlez-en au médecin, à l'infirmier/ère, au pharmacien ou à tout autre professionnel de santé qui prend en charge votre enfant.

Contacts utiles

Que trouver dans ce guide ?

À propos de Zolgensma® 4

Connaître Zolgensma® et son mode d'action

Comprendre les risques de Zolgensma® 6

Informations importantes sur la sécurité et les effets indésirables éventuels de Zolgensma®

Le traitement par Zolgensma® 13

- Avant le traitement
- Le jour du traitement
- Après le traitement

À quel moment consulter un médecin ? 25

Coordonnées du médecin 27

Lexique 28

Définitions utiles des termes utilisés dans ce guide

FA-11678721 | Version 6 - 10/2026

À propos de Zolgensma®

Zolgensma® est un traitement pour les nourrissons et jeunes enfants atteints d'amyotrophie spinale (SMA).

Cette maladie survient lorsque le gène nécessaire pour la synthèse d'une protéine essentielle appelée SMN (*survival motor neuron* - protéine de survie des neurones moteurs) est manquant ou anormal. Le manque de protéines SMN entraîne la mort des cellules nerveuses qui contrôlent les muscles (les motoneurones). Cela provoque une faiblesse et une atrophie musculaire, des difficultés respiratoires et à terme une perte de la mobilité.

Qu'est-ce que Zolgensma® ?

Zolgensma® est un type de médicament appelé « thérapie génique ». Il est constitué de la substance active onasemnogene abeparvovec, qui contient du matériel génétique humain.

Comment agit Zolgensma® ?

Zolgensma® est constitué d'un virus modifié, appelé AAV9, qui contient une copie pleinement fonctionnelle du gène *SMN1* (gène défaillant dans la SMA). Le virus AAV9 contenu dans Zolgensma® est utilisé pour transporter le gène de remplacement (cette copie pleinement fonctionnelle du gène *SMN1*) dans le corps et vers les cellules où il est nécessaire.

1

Dans Zolgensma®, le gène *SMN1* est placé à l'intérieur d'un virus modifié (AAV9) qui ne provoque pas de maladie chez l'être humain.



2

Zolgensma® est administré par voie intraveineuse (dans une veine) à votre enfant.



3

Le virus modifié contenant Zolgensma® voyage dans le corps et apporte le gène *SMN1* aux cellules où il est nécessaire.



4

Zolgensma® agit sur la cause génétique de la SMA en aidant l'organisme à produire une quantité suffisante de protéine SMN.



Zolgensma® dans le cas de la SMA à un stade avancé

Zolgensma® peut préserver les motoneurones encore vivants et capables de croître, mais pas ceux qui sont déjà morts. Les enfants présentant des symptômes moins sévères de la SMA peuvent avoir suffisamment de motoneurones vivants pour bénéficier du traitement par Zolgensma®. Zolgensma® peut ne pas être aussi efficace chez les enfants présentant des symptômes sévères.

AAV, virus adéno-associé ; ADN, acide désoxyribonucléique ; SMA, amyotrophie spinale ; SMN, survival motor neuron.

Comprendre les risques de Zolgensma®

Comme tous les médicaments, Zolgensma® peut provoquer des effets indésirables, mais ils ne surviennent pas systématiquement chez tout le monde.

Si votre enfant présente un quelconque effet indésirable, parlez-en immédiatement à son médecin, son infirmier/ère, son pharmacien ou tout autre professionnel de santé.



Informations de sécurité importantes



Troubles hépatiques

Avant que votre enfant ne reçoive ce médicament, indiquez à l'équipe médicale s'il a ou a eu dans le passé des troubles du foie. Dans certains cas, Zolgensma® peut provoquer une réponse immunitaire pouvant entraîner une augmentation des enzymes (protéines présentes dans le corps) produites par le foie ou une atteinte du foie.

Une atteinte du foie peut mener à des complications graves, notamment à une insuffisance hépatique et au décès. Les signes possibles à surveiller après l'administration de ce médicament à votre enfant comprennent des vomissements, une jaunisse (jaunissement de la peau ou du blanc des yeux) ou une diminution de la vivacité. Informez immédiatement le médecin de votre enfant si vous remarquez que votre enfant présente un symptôme évoquant une atteinte du foie.



Coagulation anormale du sang

Zolgensma® peut augmenter le risque de coagulation anormale du sang dans les petits vaisseaux sanguins (microangiopathie thrombotique) généralement dans les 2 premières semaines après le traitement par Zolgensma®. Ces caillots sanguins pourraient affecter les reins de votre enfant. Alertez immédiatement le médecin de votre enfant si vous remarquez des signes et des symptômes tels que des ecchymoses (bleus) apparaissant facilement, des convulsions (crises d'épilepsie) ou une diminution de la production d'urine.

Il faut accorder une très grande attention à ces signes et symptômes, car la coagulation anormale du sang (microangiopathie thrombotique) est grave et peut menacer la vie de votre enfant si elle n'est pas traitée.



Diminution du taux de plaquettes

Zolgensma® peut provoquer une diminution du taux de plaquettes (thrombopénie), généralement dans les 3 premières semaines suivant la perfusion de Zolgensma®. Les signes possibles d'un taux faible de plaquettes que vous devrez surveiller après traitement de votre enfant par Zolgensma® sont une tendance aux ecchymoses (bleus) et aux saignements anormaux.

Consultez votre médecin si vous observez des signes tels que des ecchymoses (bleus) ou des saignements qui durent plus longtemps que d'habitude après une blessure.

FA-11678721 | Version 6 - 10/2026

Comprendre les risques de Zolgensma®
(suite)

Comme tous les médicaments, Zolgensma® peut provoquer des effets indésirables, mais ils ne surviennent pas systématiquement chez tout le monde.

Si votre enfant présente un quelconque effet indésirable, parlez-en immédiatement à son médecin, son infirmier/ère, son pharmacien ou tout autre professionnel de santé.



Informations de sécurité importantes

Avant l'administration de Zolgensma® :
une analyse de sang sera effectuée pour contrôler les fonctions hépatique et rénale, le nombre de cellules sanguines (notamment les globules rouges et les plaquettes) ainsi que le taux de troponine I.

Pendant au moins 3 mois après le traitement : des analyses de sang seront également effectuées à intervalles réguliers afin de surveiller la fonction hépatique et l'évolution des taux de plaquettes.

En fonction des résultats et des autres signes et symptômes, des examens supplémentaires pourraient être nécessaires. C'est le médecin de votre enfant qui décidera pendant combien de temps ces examens sont nécessaires.



Veuillez vous référer à la notice jointe au médicament de votre enfant pour plus d'informations sur Zolgensma®. N'hésitez pas à vous adresser à l'équipe médicale de votre enfant pour toute question.



Allergies

Votre enfant ne peut pas recevoir Zolgensma® s'il est allergique à l'un des composants contenus dans ce médicament (mentionnés dans la rubrique 6 de la notice du médicament).



Corticoïdes

Votre enfant recevra également des corticoïdes (prednisolone ou équivalent) pendant une certaine durée avant et pendant environ 2 mois ou plus après le traitement par Zolgensma®. Après le traitement par Zolgensma®, la durée pendant laquelle les corticoïdes seront administrés à votre enfant variera en fonction des résultats des bilans hépatiques et d'autres signes et symptômes.

Les corticoïdes aident à contrôler une éventuelle augmentation des enzymes hépatiques qui pourrait survenir chez votre enfant à la suite d'une réponse immunitaire à Zolgensma®. La dose de corticoïdes administrée à votre enfant sera déterminée par son médecin en fonction de son poids. Signalez au médecin qui prend en charge votre enfant tout vomissement survenant avant ou après l'administration de Zolgensma® afin d'être certain que votre enfant ne manque pas une prise de corticoïde.

Pendant la prise de corticoïdes, votre enfant pourra être confronté à de nouvelles infections ou à d'autres maladies infantiles courantes qui peuvent nécessiter l'utilisation d'autres médicaments. Avant le traitement par d'autres médicaments, ou pour toute question concernant les corticoïdes, il est important de consulter le médecin, l'infirmier/ère, le pharmacien ou tout autre professionnel de santé qui prend en charge votre enfant.



Autres médicaments et Zolgensma®

Zolgensma® sera administré à votre enfant en une fois seulement. Informez le médecin ou l'infirmier/ère de votre enfant si votre enfant prend, a récemment pris ou pourrait prendre tout autre médicament.

Comprendre les risques de Zolgensma®
(suite)

Comme tous les médicaments, Zolgensma® peut provoquer des effets indésirables, mais ils ne surviennent pas systématiquement chez tout le monde.

Si votre enfant présente un quelconque effet indésirable, parlez-en immédiatement à son médecin, son infirmier/ère, son pharmacien ou tout autre professionnel de santé.



Informations de sécurité importantes



Infection

Avant et après le traitement par Zolgensma®, il est important de prévenir les infections en évitant les situations qui pourraient augmenter le risque de contamination pour votre enfant. Vous et les personnes proches de votre enfant pouvez aider à prévenir les infections en suivant les recommandations de lavage des mains, en respectant les règles d'hygiène en cas de toux/éternuement, et en limitant les contacts potentiels.

Vous devez immédiatement informer le médecin de votre enfant si vous remarquez que votre enfant présente l'un des signes ou symptômes évoquant une infection **avant** ou **après** le traitement par Zolgensma®, tels que :

- Toux
- Respiration sifflante
- Éternuements
- Écoulement nasal
- Mal de gorge
- Fièvre



Vaccinations

Les corticoïdes pouvant affaiblir le système immunitaire de votre enfant, son médecin pourra décider de différer certaines vaccinations pendant le traitement par corticoïdes.
Pour toute question, adressez-vous au médecin, à l'infirmier/ère, au pharmacien ou à tout autre professionnel de santé qui prend en charge votre enfant.



Réactions liées à la perfusion et réactions allergiques graves

Des réactions liées à la perfusion et réactions allergiques graves peuvent survenir pendant et/ou peu de temps après l'administration de Zolgensma®. Les signes possibles à surveiller comprennent une éruption cutanée avec démangeaisons, une pâleur de la peau, des vomissements, un gonflement du visage, des lèvres, de la bouche ou de la gorge (pouvant entraîner des difficultés à avaler ou à respirer) et/ou des modifications de la fréquence cardiaque et de la pression artérielle.

Informez immédiatement le médecin ou l'infirmier/ère de votre enfant si vous remarquez que votre enfant présente ces signes et ces symptômes ou tout autre nouveau signe ou symptôme pendant et/ou peu de temps après le traitement par Zolgensma®.

Avant la sortie de votre enfant, le médecin vous fournira des informations sur ce qu'il faut faire si votre enfant présente de nouveaux effets indésirables ou des effets indésirables qui réapparaîtraient après avoir quitté l'établissement médical.

Comprendre les risques de Zolgensma®
(suite)

Pour résumer, consultez un médecin en urgence si votre enfant développe l'un des signes ou symptômes suivants :

- **Ecchymoses** (bleus) ou **saignements** durant plus longtemps que d'habitude après une blessure – ces signes peuvent correspondre à un taux faible de plaquettes (thrombopénie).
- **Ecchymoses** (bleus) **qui apparaissent facilement, convulsions** (crises d'épilepsie) ou **diminution de la production d'urine** – ces signes peuvent correspondre à une coagulation anormale du sang dans les petits vaisseaux sanguins (microangiopathie thrombotique). Il faut accorder une très grande attention à ces signes et symptômes, car la coagulation anormale du sang (microangiopathie thrombotique) est grave et peut menacer la vie de votre enfant si elle n'est pas traitée.
- **Vomissements, jaunisse** (jaunissement de la peau ou du blanc des yeux) ou **diminution de la vivacité** – ces signes peuvent correspondre à une atteinte du foie (y compris une insuffisance hépatique).
- **Réactions liées à la perfusion et réactions allergiques graves pouvant survenir pendant et/ou peu de temps après l'administration :** une éruption cutanée avec démangeaisons, une pâleur de la peau, des vomissements, un gonflement du visage, des lèvres, de la bouche ou de la gorge (pouvant entraîner des difficultés à avaler ou à respirer) et/ou des modifications de la fréquence cardiaque et de la pression artérielle.
- **Toux, respiration sifflante, écoulement nasal, mal de gorge** ou **fièvre** – ces signes peuvent correspondre à une infection (rhume, grippe ou bronchiolite).

Le traitement par Zolgensma®

Les étapes figurant dans les pages suivantes vous aideront, ainsi que votre famille, à comprendre ce à quoi il faut vous attendre.

1. **Avant le traitement**
2. **Le jour du traitement**
3. **Après le traitement**

FA-11678721 | Version 6 - 10/2026

1. Avant le traitement

Afin de déterminer si Zolgensma® convient à votre enfant, le médecin de votre enfant demandera de réaliser des examens avant le traitement.



Recherche d'anticorps anti-AAV9

Les anticorps sont produits par le système immunitaire pour aider le corps à se protéger des maladies. La présence de certains anticorps dont les anticorps anti-AAV9 peut entraîner une réponse immunitaire contre Zolgensma®. Afin de déterminer si Zolgensma® convient à votre enfant, son médecin demandera des analyses pour rechercher la présence d'anticorps avant le traitement.

Votre enfant peut présenter des taux élevés d'anticorps anti-AAV9. S'il s'agit d'un nouveau-né, ces anticorps ont pu lui être transférés par la mère pendant la grossesse, et ces taux élevés vont souvent se réduire avec le temps après la naissance. Si votre enfant présente des taux élevés d'anticorps anti-AAV9 lors du premier test, un nouveau test sera réalisé au bout d'un certain temps. Si vous avez des questions, veuillez demander plus d'informations au médecin de votre enfant.



Bilan sanguin initial

Avant le traitement par Zolgensma®, des analyses de sang seront réalisées pour contrôler et établir un bilan initial :

- de la fonction hépatique ;
- de la fonction rénale ;
- du nombre de cellules sanguines (notamment les globules rouges et les plaquettes) ;
- du taux de troponine I.

Ces analyses aideront le médecin de votre enfant à surveiller les taux observés chez votre enfant après le traitement par Zolgensma®.



Corticoïdes

24 heures avant l'administration de Zolgensma®, votre enfant recevra des corticoïdes (prednisolone ou équivalent) afin de contrôler d'éventuelles augmentations des enzymes hépatiques.

La dose de corticoïdes administrée à votre enfant sera déterminée par son médecin en fonction de son poids. Afin d'être certain que votre enfant ne manque pas une prise de corticoïdes, signalez au médecin, à l'infirmier/ère, au pharmacien ou à tout autre professionnel de santé qui prend en charge votre enfant tout vomissement survenant avant l'administration de Zolgensma®.



Infection

Il est important de signaler immédiatement au médecin, à l'infirmier/ère, au pharmacien ou à tout autre professionnel de santé qui prend en charge votre enfant tout symptôme d'infection chez votre enfant **avant** ou **après** le traitement par Zolgensma®. S'il présente l'un des signes ou symptômes évoquant une infection avant le traitement par Zolgensma®, la perfusion pourrait être retardée jusqu'à la disparition de l'infection. Si votre enfant présente des symptômes après le traitement par Zolgensma®, cela pourrait entraîner des complications médicales nécessitant une consultation en urgence.

Vous trouverez à la page 10 les signes d'une éventuelle infection.



État de santé général

Avant le traitement par Zolgensma®, il est recommandé que l'état de santé général de votre enfant soit stable. Dans le cas contraire, la perfusion devra être retardée. Cela inclut d'être correctement hydraté, d'avoir un bon état nutritionnel et de ne pas avoir d'infection active. Pour toute préoccupation sur l'état de santé de votre enfant avant le traitement par Zolgensma®, parlez-en au médecin, à l'infirmier/ère, au pharmacien ou à tout autre professionnel de santé qui prend en charge votre enfant.

AAV, virus adéno-associé.

2. Pendant le traitement

L'équipe médicale de votre enfant s'assurera que vous compreniez exactement ce à quoi il faut s'attendre le jour du traitement et comment vous y préparer.



Corticoïdes (par exemple prednisolone)

Le jour de la perfusion de Zolgensma®, votre enfant recevra sa deuxième dose de corticoïdes par voie orale (prednisolone ou équivalent) conformément à la prescription du médecin. Le schéma posologique en corticoïdes est important pour contrôler toute augmentation potentielle des enzymes hépatiques et sera poursuivi durant une certaine durée après le traitement. **Vous trouverez à la page 20 davantage d'informations sur la prise de corticoïdes après le traitement par Zolgensma®.**

Afin d'être certain que votre enfant ne manque pas une prise de corticoïdes, signalez au médecin, à l'infirmier/ère, au pharmacien ou à tout autre professionnel de santé qui prend en charge votre enfant tout vomissement survenant après l'administration des corticoïdes.



Zolgensma® sera administré à votre enfant en UNE FOIS seulement.



L'injection de Zolgensma®

Zolgensma® sera administré à votre enfant en une seule perfusion intraveineuse. Cela implique la pose d'un cathéter (tube plastique) dans une des veines de votre enfant, à l'aide d'une aiguille. Un second cathéter de secours sera également posé en cas d'obstruction du cathéter principal. La perfusion sera effectuée par un médecin ou un(e) infirmier/ère expérimentés dans la prise en charge de la SMA. La perfusion durera environ 60 minutes.

Le médecin aura au préalable calculé la dose de Zolgensma® que recevra votre enfant en fonction de son poids.



Réactions liées à la perfusion et réactions allergiques graves

Des réactions liées à la perfusion et réactions allergiques graves peuvent survenir pendant l'administration de Zolgensma®. Les signes possibles à surveiller comprennent une éruption cutanée avec démangeaisons, une pâleur de la peau, des vomissements, un gonflement du visage, des lèvres, de la bouche ou de la gorge (pouvant entraîner des difficultés à avaler ou à respirer) et/ou des modifications de la fréquence cardiaque et de la pression artérielle.

SMA, amyotrophie spinale.

3. Après le traitement

La durée de l'hospitalisation après le traitement par Zolgensma® sera décidée par le médecin de votre enfant. Pour toute question, adressez-vous à l'équipe médicale.



Effets indésirables éventuels

Comme tous les médicaments, ce médicament peut provoquer des effets indésirables, mais ils ne surviennent pas systématiquement chez tout le monde.

Pour résumer, consultez un médecin en urgence si votre enfant développe l'un des signes ou symptômes suivants

- **Ecchymoses** (bleus) ou **saignements** durant plus longtemps que d'habitude après une blessure – ces signes peuvent correspondre à un taux faible de plaquettes (thrombopénie).
- **Ecchymoses** (bleus) **qui apparaissent facilement, convulsions** (crises d'épilepsie) ou **diminution de la production d'urine** – ces signes peuvent correspondre à une coagulation anormale du sang dans les petits vaisseaux sanguins (microangiopathie thrombotique). Il faut accorder une très grande attention à ces signes et symptômes, car la coagulation anormale du sang (microangiopathie thrombotique) est grave et peut menacer la vie de votre enfant si elle n'est pas traitée.
- **Vomissements, jaunisse** (jaunissement de la peau ou du blanc des yeux) ou **diminution de la vivacité** – ces signes peuvent correspondre à une atteinte du foie (y compris une insuffisance hépatique).
- **Toux, respiration sifflante, écoulement nasal, mal de gorge** ou **fièvre** – ces signes peuvent correspondre à une infection (rhume, grippe ou bronchiolite).
- **Réactions liées à la perfusion et réactions allergiques graves survenant peu de temps après l'administration :** une éruption cutanée avec démangeaisons, une pâleur de la peau, des vomissements, un gonflement du visage, des lèvres, de la bouche ou de la gorge (pouvant entraîner des difficultés à avaler ou à respirer) et/ou des modifications de la fréquence cardiaque et de la pression artérielle.

Informez l'équipe médicale de votre enfant si votre enfant présente d'autres effets indésirables. Ceux-ci peuvent être notamment :

Très fréquents (peut affecter plus d'1 patient sur 10)

- Augmentation des enzymes hépatiques détectée par les analyses de sang

Fréquents (peut affecter jusqu'à 1 patient sur 10)

- Vomissements
- Fièvre
- Augmentations de la troponine I (une protéine cardiaque) montrées par les analyses de sang

Signalement des effets indésirables :

▼ Ce médicament fait l'objet d'une surveillance supplémentaire qui permettra l'identification rapide de nouvelles informations relatives à la sécurité.

Si votre enfant présente un quelconque effet indésirable ou si vous avez des préoccupations, parlez-en immédiatement à son médecin, son infirmier/ère, son pharmacien ou à tout autre professionnel de santé.

Ceci s'applique aussi à tout effet indésirable qui ne serait pas mentionné dans la notice d'information.

Vous pouvez également déclarer les effets indésirables de votre enfant directement via le portail de signalement des évènements sanitaires indésirables du ministère chargé de la santé https://signalement.social-sante.gouv.fr.

FA-11678721 | Version 6 - 10/2026

3. Après le traitement *(suite)*

Prise de corticoïdes après le traitement par Zolgensma®

Votre enfant recevra le traitement par corticoïdes chaque jour pendant environ 2 mois après l'administration de Zolgensma®. Cette période pourra être prolongée si les taux d'enzymes hépatiques de votre enfant ne diminuent pas assez rapidement, jusqu'à atteindre une valeur acceptable. La dose de corticoïdes prescrite à votre enfant sera réduite progressivement jusqu'à ce que le traitement puisse être arrêté totalement.

L'équipe médicale de votre enfant décidera et expliquera quand et comment votre enfant arrêtera ce traitement. Afin d'être certain que votre enfant ne manque pas une prise de corticoïdes, signalez au médecin de votre enfant tout vomissement survenant après le traitement par Zolgensma®.

N'arrêtez pas le traitement par corticoïdes avant d'en avoir discuté avec le médecin, l'infirmier/ère, le pharmacien ou tout autre professionnel de santé qui prend en charge votre enfant.

Pour toute question sur les corticoïdes, parlez-en au médecin, à l'infirmier/ère, au pharmacien ou à tout autre professionnel de santé qui prend en charge votre enfant.

Suivi régulier

Après le traitement par Zolgensma®, votre enfant continuera à être suivi régulièrement par une équipe de soins dédiée. Votre enfant devra réaliser des visites de suivi qu'il s'agisse d'une surveillance générale, que votre enfant présente des effets indésirables ou que vous ayez des préoccupations ou des questions éventuelles.

Chez les patients atteints de SMA, une prise en charge globale appropriée, comprenant notamment des soins de support à visée symptomatique, est nécessaire. Il est important de discuter avec le médecin de votre enfant de la manière dont l'équipe de soins continuera à s'occuper de votre enfant.

Analyses de sang régulières

À la suite du traitement par Zolgensma®, votre enfant devra effectuer des analyses de sang régulières pour suivre :

- la fonction hépatique – ces analyses sont effectuées à intervalles réguliers pendant au moins 3 mois après le traitement pour détecter une éventuelle augmentation des enzymes hépatiques. Si la fonction hépatique de votre enfant se détériore après le traitement par Zolgensma®, ou s'il présente des signes d'atteinte hépatique, il sera rapidement évalué et étroitement surveillé par le médecin ;
- le taux de plaquettes – cette analyse sera effectuée durant une certaine durée après le traitement, selon l'avis du médecin.

En fonction des résultats des analyses de sang et de la présence d'autres signes et symptômes, des examens supplémentaires pourraient être nécessaires.

Il est important de respecter étroitement le calendrier des analyses de sang et de signaler immédiatement à l'équipe médicale de votre enfant tout signe ou symptôme que votre enfant pourrait développer après avoir reçu son traitement.

FA-11678721 | Version 6 - 10/2026

3. Après le traitement *(suite)*



Gestion des déchets corporels de votre enfant

Une partie de la substance active contenue dans Zolgensma® peut être excrétée dans les déchets corporels de votre enfant après le traitement. Vous et les personnes qui s'occupent de votre enfant doivent pratiquer une hygiène des mains correcte, comme indiqué ci-dessous, pendant une durée allant jusqu'à **1 mois** après l'administration de Zolgensma® à votre enfant.



Portez des gants de protection lors du contact direct avec les liquides (urine) ou déchets corporels (selles) de votre enfant.



Lavez-vous ensuite soigneusement les mains, au savon et à l'eau du robinet tiède ou nettoyez-les avec un produit désinfectant hydro-alcoolique.



Utilisez des doubles sacs plastiques pour jeter les couches sales ou les autres déchets. Les couches jetables peuvent toujours être jetées avec les ordures ménagères.

Pour toute question concernant la façon de traiter les déchets corporels de votre enfant, veuillez vous adresser au médecin, à l'infirmier/ère, au pharmacien ou à tout autre professionnel de santé qui prend en charge votre enfant.

Soins de support à visée symptomatique

Zolgensma® ne dispense pas des soins de support à visée symptomatique supplémentaires utilisés dans la prise en charge des personnes atteintes de SMA.

L'équipe de soins de votre enfant travaillera avec vous pour veiller à la bonne gestion des soins de support apportés à votre enfant.



SMA, amyotrophie spinale.

À quel moment consulter un médecin ?

Consultez en urgence, si votre enfant présente :



- **des vomissements** (afin de garantir que votre enfant ne manque pas une prise de corticoïdes : prednisolone ou équivalent),
- **une jaunisse** (jaunissement de la peau ou du blanc des yeux) ou **une diminution de la vivacité**,
- **des ecchymoses** (bleus) **apparaissant facilement**, ou des **saignements anormaux** quand il s'est fait mal,
- **des convulsions** (crises d'épilepsie),
- **une diminution de la production d'urine**,
- **des réactions liées à la perfusion et des réactions allergiques graves survenant peu de temps après l'administration :** une éruption cutanée avec démangeaisons, une pâleur de la peau, des vomissements, un gonflement du visage, des lèvres, de la bouche ou de la gorge (pouvant entraîner des difficultés à avaler ou à respirer) et/ou des modifications de la fréquence cardiaque et de la pression artérielle.

Signalez immédiatement à votre médecin tout signe ou symptôme évoquant une infection chez votre enfant (par exemple, rhume, grippe ou bronchiolite) avant ou après le traitement par Zolgensma®, car cela pourrait entraîner d'autres complications plus graves nécessitant une consultation en urgence.

Les signes à surveiller sont **une toux, une respiration sifflante, des éternuements, un écoulement nasal, un mal de gorge ou une fièvre.**

Coordonnées du médecin

Après la perfusion de Zolgensma®, votre enfant continuera à être surveillé par une équipe de professionnels de santé. Si vous avez des préoccupations et souhaitez parler au médecin de votre enfant ou à l'équipe de soins, vous pouvez utiliser la fiche ci-dessous pour noter leurs coordonnées.

Nom : .....
Fonction : .....
Numéro de téléphone : .....
Adresse e-mail : .....

Nom : .....
Fonction : .....
Numéro de téléphone : .....
Adresse e-mail : .....

Nom : .....
Fonction : .....
Numéro de téléphone : .....
Adresse e-mail : .....

Nom : .....
Fonction : .....
Numéro de téléphone : .....
Adresse e-mail : .....

Nom : .....
Fonction : .....
Numéro de téléphone : .....
Adresse e-mail : .....

Nom : .....
Fonction : .....
Numéro de téléphone : .....
Adresse e-mail : .....

Lexique

Acide désoxyribonucléique (ADN)
L'acide désoxyribonucléique (ADN) est le matériel héréditaire chez l'être humain et la plupart des autres organismes. La quasi-totalité des cellules d'une personne présente le même ADN.

Amyotrophie spinale (SMA)
La SMA est une maladie rare qui affaiblit progressivement les muscles parce que les cellules nerveuses spécialisées dans le contrôle des mouvements musculaires cessent de fonctionner. Les motoneurones se détériorent et cessent de fonctionner parce qu'ils ne disposent plus assez de protéine SMN.

Anticorps
Les anticorps sont produits par le système immunitaire afin de le protéger des maladies. Chaque type d'anticorps est unique en son genre et défend le corps contre un type particulier de maladie.

Atrophie
L'atrophie est synonyme de diminution ou de fonte musculaire. Ainsi, un muscle qui diminue est ce que l'on appelle un muscle atrophié.

Corticoïdes
Les corticoïdes sont un type de médicament qui régule le système immunitaire de manière à contribuer à contrôler une éventuelle augmentation des enzymes hépatiques après l'administration de Zolgensma®.

Effet indésirable
Réaction non voulue liée à l'utilisation d'un médicament.

Gènes
Les gènes sont un ensemble d'instructions qui dit à l'organisme comment produire les protéines. Les gènes vont par paire, chacun des parents en transmettant une copie.

Gène SMN1
Le gène SMN1 est le gène SMN primaire qui produit la protéine SMN dont ont besoin les motoneurones pour fonctionner. Chez les personnes atteintes de SMA, les deux copies de ce gène sont défaillantes ou absentes. Cela signifie que les cellules du corps ne sont pas capables de produire assez de protéine SMN.

Maladie génétique
Maladie causée par l'absence ou la défaillance d'un ou plusieurs gènes. Les maladies génétiques sont héréditaires. La SMA en est un exemple.

Motoneurones
Ils constituent des nerfs spécifiques qui transmettent des signaux électriques du cerveau aux muscles afin de contrôler les mouvements. Il existe deux types de motoneurones : les motoneurones supérieurs, qui transmettent les signaux du cerveau au tronc cérébral et à la moelle épinière, et les motoneurones inférieurs, qui transmettent les signaux des motoneurones supérieurs aux muscles.

Perfusion intraveineuse
Injection dans une veine à l'aide d'un cathéter (tube plastique) inséré à l'aide d'une aiguille.

Plaquettes
Il s'agit d'un type de cellule qui se trouve dans le sang, responsable de la coagulation du sang.

Prednisolone
La prednisolone est un médicament appelé corticoïde, qui permet de contrôler une éventuelle augmentation des enzymes hépatiques après le traitement par Zolgensma®.

Protéines
Les protéines sont des molécules essentielles impliquées dans la quasi-totalité des fonctions de l'organisme. Elles permettent de construire les cellules du corps, elles aident aussi les cellules à transporter et à produire des substances indispensables, ainsi qu'à se réparer et à survivre.

Protéine SMN (survival motor neuron)
La protéine SMN est vitale pour les motoneurones qui ne peuvent fonctionner correctement et survivre sans elle. Sans protéine SMN, les motoneurones se détériorent et cessent de fonctionner. Elle est produite par l'organisme principalement à l'aide du gène *SMN1*.

Thérapie génique
La thérapie génique est un moyen de traiter ou de prévenir la progression d'une maladie à l'aide des gènes. Il en existe différents types, au fonctionnement différent. Elles peuvent notamment remplacer ou réparer des gènes manquants ou défaillants, ajouter un gène afin d'améliorer l'efficacité d'un médicament, ou interrompre les instructions d'un gène qui produit trop de protéines, ce qui devient toxique pour le corps.

Virus adéno-associé de sérotype 9 (AAV9)
Le virus adéno-associé de sérotype 9 (AAV9) est un type de virus. L'AAV9 peut être modifié de manière à ne pas causer de maladie chez l'être humain. Concernant Zolgensma®, l'AAV9 modifié constitue le vecteur qui permet de fournir une copie fonctionnelle du gène SMN1.

Notes

Pour plus d'informations sur le produit, consultez la notice fournie avec ce médicament ou disponible sur la base de données publique des médicaments :

Ou directement sur le site internet à l'adresse suivante : http://base-donnees-publique.medicaments.gouv.fr.

Pour toute information complémentaire :

Novartis Pharma SAS
Service d'Information Médicale
8-10 rue Henri Sainte-Claire Deville
92500 Rueil-Malmaison, France
Tél. 01.55.47.66.00
icm.phfr@novartis.com

FA-11678721 | Version 6 - 10/2026

© 2026 Novartis Europharm Limited. Tous droits réservés.

NOVARTIS

zolgensma® ▼
(onasemnogene abeparvovec)