Zolgensma®▼ (onasemnogene abeparvovec) Guide à destination des professionnels de santé

Ce guide a été conçu pour aider les professionnels de santé amenés à prescrire, délivrer et administrer Zolgensma®. Il a pour but de les informer sur les principaux risques liés au traitement par Zolgensma® que sont l'hépatotoxicité, la thrombopénie et la microangiopathie thrombotique, et de leur donner les recommandations à prendre en compte avant, pendant et après le traitement afin de réduire ces risques.

Ce guide ne se substitue pas au Résumé des Caractéristiques du Produit (RCP) de Zolgensma®, qui doit être lu attentivement.

Zolgensma® est indiqué dans le traitement :

- des patients atteints d'amyotrophie spinale (SMA) 5q avec une mutation bi-allélique du gène *SMN1* et ayant un diagnostic clinique de SMA de type 1, ou
- des patients atteints de SMA 5q avec une mutation bi-allélique du gène *SMN1* et jusqu'à trois copies du gène *SMN2*.

Le traitement doit être instauré et administré dans un milieu hospitalier et supervisé par un médecin expérimenté dans la prise en charge des patients atteints de SMA.

▼ Ce médicament fait l'objet d'une surveillance supplémentaire qui permettra l'identification rapide de nouvelles informations relatives à la sécurité. Les professionnels de la santé doivent déclarer tout effet indésirable suspecté.

SMA, Amyotrophie spinale ; SMN, survival motor neuron ; RCP, Résumé des Caractéristiques du Produit.

NOVARTIS

Diffusé sous l'autorité de l'ANSM

FA-11678741 | Version 3 - 10/2026

Veuillez lire attentivement ce guide avant toute utilisation de Zolgensma®. Il a été conçu pour vous aider à comprendre et réduire les principaux risques associés à un traitement par Zolgensma® :

- **Hépatotoxicité**
- **Thrombopénie**
- **Microangiopathie thrombotique (MAT)**

Pour toutes questions ou préoccupations au sujet de Zolgensma®, veuillez vous référer au RCP de ce produit ou en parler à votre contact Novartis.

Contacts utiles

RCP, Résumé des Caractéristiques du Produit.

Que trouver dans ce guide ?

Principaux risques associés à un traitement par Zolgensma® 4

- Hépatotoxicité 4
- Thrombopénie 4
- Microangiopathie thrombotique (MAT) 5
- Autres mises en garde et précautions d'emploi associées à un traitement par Zolgensma® 5

Recommandations 6

- Avant le début du traitement 6
- Au moment de la perfusion 11
- Après la perfusion 14

Calendrier des bilans sanguins 18

Checklist récapitulative 22

FA-11678741 | Version 3 - 10/2026

Principaux risques associés à un traitement par Zolgensma®

Informations de sécurité importantes

Les principaux risques, identifiés comme étant importants, associés à un traitement par Zolgensma®, sont décrits ci-dessous.

Veuillez noter que les informations de sécurité à prendre en compte lors d'un traitement par Zolgensma® ne sont pas limitées aux risques présentés dans ce guide.

Veuillez lire attentivement le RCP de Zolgensma® afin d'obtenir toutes les informations sur la sécurité d'emploi de ce produit.



Hépatotoxicité

Après un traitement par Zolgensma®, une hépatotoxicité d'origine immunitaire se manifeste généralement par des taux élevés d'alanine aminotransférase (ALAT) et/ou d'aspartate aminotransférase (ASAT).

Une atteinte hépatique aiguë grave et une insuffisance hépatique aiguë, incluant des cas d'issue fatale, ont été rapportées suite à l'administration de Zolgensma®, généralement dans les 2 mois suivant la perfusion et malgré la prise de corticoïdes avant et après la perfusion.

L'hépatotoxicité d'origine immunitaire peut nécessiter un ajustement du traitement immunomodulateur, notamment une prolongation de la durée du traitement immunomodulateur, une augmentation de la dose ou une réduction plus progressive de la corticothérapie.



Thrombopénie

Des diminutions transitoires du taux de plaquettes, dont certaines répondaient aux critères de thrombopénie, ont été rapportées dans les études cliniques avec Zolgensma®. Dans la majorité des cas, le nadir plaquettaire était observé au cours de la première semaine suivant la perfusion de Zolgensma®.



Microangiopathie thrombotique

Zolgensma® peut augmenter le risque de microangiopathie thrombotique (MAT), généralement au cours des 2 premières semaines après la perfusion.

La MAT est une maladie aiguë menaçant le pronostic vital, caractérisée par une thrombopénie et une anémie hémolytique microangiopathique. Des cas d'issue fatale ont été rapportés. Une atteinte rénale aiguë a également été observée. Dans certains cas, une activation concomitante du système immunitaire (par exemple du fait d'une infection, vaccination) a également été signalée comme un déclencheur possible.

Si les patients présentent des signes cliniques, des symptômes ou des résultats de laboratoire évocateurs d'une MAT, une prise en charge clinique immédiate et spécialisée doit être mise en place.

Veuillez vous référer à la rubrique 4.4 du RCP pour plus d'informations sur les mises en garde et les précautions d'emploi de Zolgensma®



Autres mises en garde et précautions d'emploi associées à un traitement par Zolgensma®

- **Réactions liées à la perfusion et réactions anaphylactiques**

  Des réactions liées à la perfusion, incluant des réactions anaphylactiques, sont survenues pendant et/ou peu de temps après la perfusion de Zolgensma®.

Veuillez noter que les informations de sécurité à prendre en compte lors d'un traitement par Zolgensma® ne sont pas limitées aux risques présentés ci-dessus.

Veuillez lire attentivement le RCP de Zolgensma® afin d'obtenir toutes les informations sur la sécurité d'emploi de ce produit.

ALAT, alanine aminotransférase ; ASAT, aspartate aminotransférase ; MAT, microangiopathie thrombotique ; RCP, Résumé des Caractéristiques du Produit.

FA-11678741 | Version 3 - 10/2026

1. Avant le début du traitement

Informer le(s) aidant(s) des principaux risques associés à Zolgensma® et de leurs signes et symptômes, comprenant mais sans s'y limiter, la microangiopathie thrombotique, l'insuffisance hépatique et la thrombopénie.

Bilan biologique initial

Un développement d'anticorps anti-AAV9 peut se produire après une exposition naturelle.

Une recherche d'anticorps anti-AAV9 doit être réalisée chez les patients avant le traitement par Zolgensma® à l'aide d'un test validé approprié.

Une nouvelle analyse peut être effectuée si le titre d'anticorps anti-AAV9 rapporté est supérieur à 1:50.

On ne sait pas encore si ou dans quelles conditions Zolgensma® peut être administré de manière sûre et efficace en présence de titres d'anticorps AAV9 supérieurs à 1:50.

Avant l'administration de Zolgensma®, un bilan biologique initial incluant ce qui suit doit être réalisé, mais sans y être limité :

- Recherche d'anticorps anti-AAV9 à l'aide d'un dosage validé de façon appropriée ;
- Fonction hépatique : alanine aminotransférase (ALAT), aspartate aminotransférase (ASAT), bilirubine totale, albumine, temps de prothrombine, temps de céphaline activée (TCA) et rapport international normalisé (INR) ;
- Dosage de la créatinine ;
- Numération formule sanguine (comprenant le taux d'hémoglobine et la numération plaquettaire) ;
- Dosage de la troponine I.

La nécessité d'une surveillance étroite de la fonction hépatique et des taux de plaquettes après l'administration et la nécessité d'une corticothérapie doivent être prises en compte pour programmer le moment du traitement par Zolgensma®.

Des analyses de sang seront également effectuées à intervalles réguliers pendant au moins 3 mois après la perfusion de Zolgensma®.

Veuillez vous référer aux pages 18 à 21 de ce guide pour le calendrier détaillé des bilans sanguins.

Informer le(s) aidant(s) de la nécessité d'effectuer des bilans sanguins réguliers.

Le(s) aidant(s) doivent être informés que des bilans sanguins seront nécessaires pendant au moins 3 mois après le traitement par Zolgensma®. Il est important de respecter le calendrier des bilans sanguins pour obtenir les meilleurs résultats possibles pour le patient. Les dates et heures de rendez-vous doivent être convenues et réservées avant le début du traitement.

AAV, adeno-associated virus.

1. Avant le début du traitement *(suite)*

Prise des corticoïdes

Une réponse immunitaire à la capside de l'AAV9 se produira après l'administration de Zolgensma®, entraînant :



Des élévations des transaminases hépatiques



Des élévations de la troponine I



Une diminution des plaquettes

Pour diminuer la réponse immunitaire, une immunomodulation par corticoïdes est recommandée.



24 heures avant la perfusion de Zolgensma®, il est recommandé d'instaurer un traitement par corticoïdes. La prescription initiale suivante est recommandée :

Prednisolone 1 mg/kg/jour (ou équivalent si un autre corticoïde est utilisé) par voie orale.

Informer le(s) aidant(s) de l'importance de la corticothérapie.

Informer le(s) aidant(s) de l'urgence de vous signaler tout vomissement, afin d'être certain que le patient ne manque pas une prise de corticoïde.

État de santé général

En raison d'un risque augmenté de réponse immunitaire systémique sévère, il est recommandé que l'état de santé général des patients soit cliniquement stable (par exemple hydratation et état nutritionnel, absence d'infection) avant la perfusion de Zolgensma®.

Informer le(s) aidant(s) de la nécessité d'une vigilance accrue pour la prévention, la surveillance et la prise en charge d'une infection avant et après la perfusion de Zolgensma®.

L'aidant doit :

- Être informé des signes et symptômes évocateurs d'une infection (par exemple : toux, respiration sifflante, éternuements, écoulement nasal, mal de gorge ou fièvre). Si le patient présente l'un de ces signes ou symptômes, il doit vous contacter d'urgence.
- Suivre les recommandations de prévention des infections en évitant les situations qui pourraient augmenter le risque de contamination du patient, par exemple en pratiquant une bonne hygiène des mains, en respectant les règles d'hygiène en cas de toux/d'éternuement et en limitant les contacts potentiels.
- Être informé du risque d'infection possible dans le cadre de la circoncision et recommander de pratiquer la circoncision dans un cadre médical pour réduire le risque d'infection.

En cas d'infections actives aiguës ou chroniques non contrôlées, le traitement doit être différé jusqu'à ce que l'infection se soit résolue et que le patient soit cliniquement stable.

AAV9, virus adéno-associé de sérotype 9.

1. Avant le début du traitement *(suite)*

Calendrier de vaccinations

Avant le début du traitement, il convient d'évaluer le calendrier de vaccinations du patient.

Si possible, le calendrier de vaccinations doit être adapté par rapport à l'administration concomitante de corticoïdes avant et après la perfusion de Zolgensma®.

Une prophylaxie saisonnière contre les infections par le virus respiratoire syncitial (VRS) est recommandée. Les vaccins à virus vivant tels que le vaccin ROR (Rougeole, Oreillons, Rubéole) et le vaccin contre la varicelle ne doivent pas être administrés chez les patients recevant une dose de corticoïdes immunosuppressive (c'est-à-dire ≥ 2 semaines d'administration quotidienne de 20 mg ou 2 mg/kg de poids corporel de prednisone ou équivalent).

Poids

Le patient recevra une dose nominale de 1,1 x 10^{14} vg/kg de Zolgensma®. Le volume total est déterminé en fonction du poids du patient. Le patient doit être pesé avant le traitement pour s'assurer qu'il reçoive la bonne dose.

2. Au moment de la perfusion

État de santé général

Vérifier si l'état de santé général du patient est compatible avec la perfusion (par exemple hydratation et état nutritionnel, absence d'infection) ou si un report est justifié. En cas d'infections actives aiguës ou chroniques non contrôlées, le traitement doit être différé jusqu'à ce que l'infection se soit résolue et que le patient soit cliniquement stable.

Le traitement ne doit pas être instauré en même temps qu'une infection active, qu'elle soit aiguë (telle qu'une infection respiratoire aiguë ou une hépatite aiguë) ou chronique non contrôlée (telle qu'une hépatite B chronique active), jusqu'à ce que l'infection soit résolue. Si le patient présente des signes ou des symptômes évocateurs d'une infection, le traitement doit être reporté.

Poids du patient

Le dosage de Zolgensma® est basé sur le poids.

S'il y a un délai entre la commande de Zolgensma® et la perfusion, il peut être nécessaire de peser à nouveau le patient pour s'assurer que la dose de Zolgensma® est la bonne.

Contactez immédiatement Novartis si vous êtes préoccupé par un changement de poids du patient depuis la commande du traitement.

ROR, Rougeole, Oreillons, Rubéole ; VRS, Virus respiratoire syncitial.

2. Au moment de la perfusion *(suite)*

Prise des corticoïdes

S'assurer que la corticothérapie a été commencée 24 heures avant la perfusion de Zolgensma®.

Pour atténuer la réponse immunitaire, le patient doit avoir commencé son traitement immunomodulateur par corticoïdes, la première dose ayant été administrée 24 heures avant la perfusion de Zolgensma®. Le jour du traitement par Zolgensma®, le patient doit poursuivre le traitement et recevoir la dose suivante de corticoïdes :

Prednisolone 1 mg/kg/jour (ou équivalent si un autre corticoïde est utilisé) par voie orale.

Le traitement immunomodulateur doit être poursuivi pendant 30 jours, incluant le jour d'administration de Zolgensma®, suivi d'une période de diminution progressive d'au moins 28 jours. Veuillez vous référer à la page 14 pour la prise des corticoïdes après la perfusion.

Perfusion de Zolgensma®

Zolgensma® est administré en perfusion intraveineuse unique exclusivement.

Zolgensma® doit être administré à l'aide d'un pousse-seringue en perfusion intraveineuse unique lente d'environ 60 minutes. La pose d'un cathéter secondaire de secours est recommandée en cas d'obstruction du cathéter principal.

Il ne doit être administré qu'en perfusion intraveineuse. **Il ne doit pas être administré en injection intraveineuse rapide ou en bolus.**

À la fin de la perfusion, la tubulure doit être rincée avec du sérum physiologique.

Contactez immédiatement Novartis si vous êtes préoccupé par un changement de poids du patient depuis la commande du traitement.

Zolgensma® contient un organisme génétiquement modifié. Vous devez donc prendre les précautions appropriées (gants, lunettes de sécurité, blouse et manchons) lors de la manipulation ou de l'administration de Zolgensma®.

Pour des instructions détaillées concernant la préparation, la manipulation, les moyens d'éviter une exposition accidentelle et l'élimination (y compris le traitement approprié des déchets corporels), veuillez vous référer au RCP.

Réactions liées à la perfusion et réactions anaphylactiques

Des réactions liées à la perfusion, incluant des réactions anaphylactiques, sont survenues pendant la perfusion de Zolgensma®. Les patients doivent être étroitement surveillés afin de détecter des signes cliniques et des symptômes de réactions liées à la perfusion. Si une réaction se produit, la perfusion doit être interrompue et un traitement doit être administré si nécessaire. Sur la base de l'évaluation clinique et des recommandations standards, l'administration peut être reprise avec prudence.

FA-11678741 | Version 3 - 10/2026

3. Après la perfusion de Zolgensma®

Prise des corticoïdes

La corticothérapie doit être poursuivie pendant au moins 2 mois et ne doit pas être diminuée avant que les taux d'ASAT/ALAT soient inférieurs à 2 fois la limite supérieure de la normale (LSN), que le taux de bilirubine totale soit normal, et que l'examen clinique soit normal.

Il peut être nécessaire de prolonger cette période jusqu'à ce que les valeurs d'ASAT et d'ALAT soient inférieures à 2 x LSN. La dose de corticoïdes administrée au patient doit alors être réduite lentement, jusqu'à ce que le traitement puisse être complètement arrêté.



La prednisolone 1 mg/kg/jour (ou l'équivalent si un autre corticoïde est utilisé) doit être administrée par voie orale pendant 30 jours, incluant le jour d'administration de Zolgensma®.

À la fin de cette période de 30 jours de traitement, un contrôle de la fonction hépatique du patient doit être effectué.



Pour les patients dont les résultats sont normaux (examen clinique normal, bilirubine totale, et dont les valeurs d'ALAT et d'ASAT sont toutes deux inférieures à 2 x LSN à la fin de la période totale de 30 jours) :

Diminuer progressivement la prednisolone (ou équivalent) pendant 28 jours.

- Par exemple : 2 semaines à 0,5 mg/kg/jour, puis 2 semaines à 0,25 mg/kg/jour de prednisolone orale.



Pour les patients présentant des anomalies de la fonction hépatique à la fin de la période totale de 30 jours :

Poursuivre l'administration de prednisolone jusqu'à ce que les valeurs d'ASAT et d'ALAT soient inférieures à 2 x LSN et que tous les autres paramètres reviennent à la normale, puis diminuer progressivement pendant 28 jours ou plus longtemps si nécessaire.

À tout moment, si les patients ne répondent pas de façon adéquate à l'équivalent d'1 mg/kg par jour de prednisolone orale, selon l'évolution clinique, un hépato-gastroentérologue pédiatrique doit être consulté rapidement et un ajustement du traitement immunomodulateur doit être envisagé, par exemple en augmentant la dose de corticoïdes, en prolongeant la durée ou en réduisant plus progressivement les doses pendant la période d'arrêt progressif de la corticothérapie.

Bilans sanguins réguliers

Une surveillance étroite (clinique et biologique) et à intervalles réguliers de l'évolution du patient doit être effectuée pendant au moins 3 mois après la perfusion de Zolgensma®.



La fonction hépatique (ALAT, ASAT, bilirubine totale) doit être surveillée à intervalles réguliers pendant au moins 3 mois après la perfusion de Zolgensma®.

Les bilans doivent être effectués :

- Chaque semaine le premier mois et pendant toute la période de diminution progressive de la corticothérapie,
- Toutes les 2 semaines pendant un mois supplémentaire,
- À chaque fois que la situation clinique le nécessite.

Les patients présentant une détérioration de leur fonction hépatique et/ou des signes ou symptômes d'une atteinte hépatique aiguë doivent être rapidement examinés par un spécialiste et étroitement surveillés.

Si les patients ne répondent pas à la corticothérapie, ou si une atteinte hépatique est suspectée, un hépato-gastroentérologue pédiatrique doit être consulté rapidement.

ALAT, alanine aminotransférase ; ASAT, aspartate aminotransférase ; LSN, limite supérieure de la normale.

3. Après la perfusion de Zolgensma® *(suite)*

La numération plaquettaire doit être étroitement surveillée pendant les trois premières semaines suivant la perfusion puis à intervalles réguliers.

Après le traitement par Zolgensma®, la numération plaquettaire doit être surveillée :

- Au moins une fois par semaine pendant le premier mois,
- Toutes les deux semaines pendant les deuxième et troisième mois, jusqu'à ce que la numération plaquettaire soit revenue à la valeur avant traitement.

En cas de suspicion de MAT, un spécialiste doit être consulté.

Excrétion temporaire

1 MOIS

Une excrétion temporaire de Zolgensma® peut se produire, essentiellement par l'intermédiaire des déchets corporels, pendant au moins 1 mois après le traitement par Zolgensma®.

Fournir aux familles et aidants des conseils pratiques concernant l'élimination des déchets corporels à suivre pendant au moins 1 mois après le traitement de l'enfant par Zolgensma®.

Porter des gants de protection en cas de contact direct avec des liquides ou des déchets corporels.

Se laver soigneusement les mains au savon et à l'eau du robinet tiède, ou avec un produit aseptisant hydro-alcoolique.

Utiliser des doubles sacs en plastique pour jeter les couches souillées et les autres déchets. Les couches jetables peuvent toujours être jetées avec les ordures ménagères.

Réactions liées à la perfusion et réactions anaphylactiques

Des réactions liées à la perfusion, incluant des réactions anaphylactiques, sont survenues peu de temps après la perfusion de Zolgensma®. Les patients doivent être étroitement surveillés afin de détecter des signes cliniques et des symptômes de réactions liées à la perfusion. Si une réaction se produit, la perfusion doit être interrompue et un traitement doit être administré si nécessaire. Sur la base de l'évaluation clinique et des recommandations standards, l'administration peut être reprise avec prudence.

Signalement des effets indésirables :

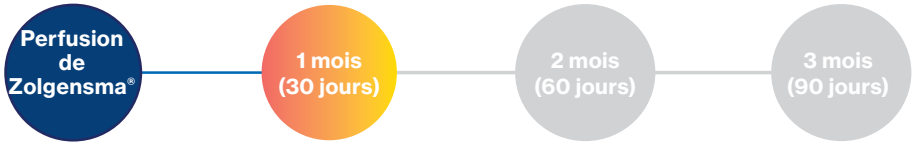
▼ Ce médicament fait l'objet d'une surveillance supplémentaire qui permettra l'identification rapide de nouvelles informations relatives à la sécurité.

Déclarez immédiatement tout effet indésirable suspecté d'être dû à un médicament auprès de votre Centre Régional de Pharmacovigilance ou sur https://signalement.social-sante.gouv.fr

MAT, microangiopathie thrombotique.

Calendrier des bilans sanguins : premier mois après le traitement par Zolgensma®

(semaines 1 à 4 après la perfusion)



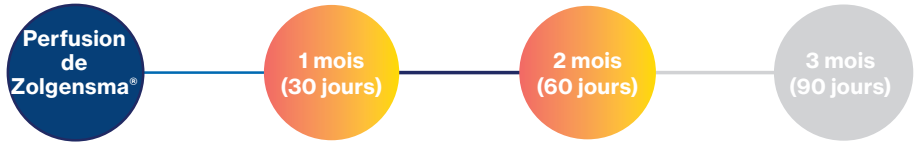
Bilans sanguins

Au cours du premier mois suivant le traitement par Zolgensma®, votre patient devra réaliser **des bilans sanguins hebdomadaires pour vérifier la fonction hépatique et la numération plaquettaire.** Le tableau ci-dessous peut être utilisé pour vous guider dans le calendrier des bilans sanguins.

Nombre de semaines après le traitement par Zolgensma®	Bilans sanguins
Semaine 1	Fonction hépatique Numération plaquettaire
Semaine 2	Fonction hépatique Numération plaquettaire
Semaine 3	Fonction hépatique Numération plaquettaire
Semaine 4	Fonction hépatique Numération plaquettaire

Calendrier des bilans sanguins : deuxième mois après le traitement par Zolgensma®

(semaines 5 à 8 après la perfusion)



Bilans sanguins

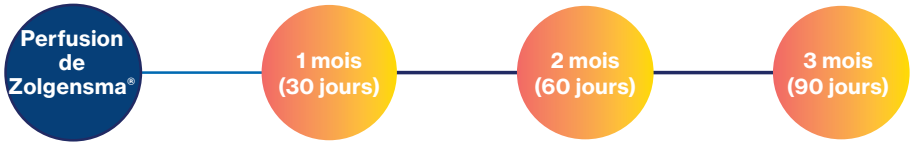
Au cours du deuxième mois suivant le traitement par Zolgensma® et pendant toute la période de diminution progressive de la corticothérapie, votre patient devra réaliser **des bilans sanguins hebdomadaires pour vérifier la fonction hépatique. La numération plaquettaire doit être contrôlée toutes les deux semaines,** jusqu'à ce qu'elle soit revenue à la valeur avant traitement. Le tableau ci-dessous peut être utilisé pour vous guider dans le calendrier des bilans sanguins.

Nombre de semaines après le traitement par Zolgensma®	Bilans sanguins
Semaine 5	Fonction hépatique
Semaine 6	Fonction hépatique Numération plaquettaire si pas de retour aux valeurs de référence (avant traitement)
Semaine 7	Fonction hépatique
Semaine 8	Fonction hépatique Numération plaquettaire si pas de retour aux valeurs de référence (avant traitement)

FA-11678741 | Version 3 - 10/2026

Calendrier des bilans sanguins : troisième mois après le traitement par Zolgensma®

(semaines 9 à 12 après la perfusion)



Bilans sanguins

Au cours du troisième mois suivant le traitement par Zolgensma®, votre patient devra réaliser **des bilans sanguins réguliers pour vérifier la fonction hépatique et la numération plaquettaire** (si elle n'est pas revenue à la valeur avant traitement). Le tableau ci-dessous peut être utilisé pour vous guider dans le calendrier des bilans sanguins.

Nombre de semaines après le traitement par Zolgensma®	Bilans sanguins
Semaine 9	Fonction hépatique (pour un patient dont la fonction hépatique n'est pas revenue à sa valeur de référence après le traitement, ou pour un patient qui est en période de diminution progressive de la corticothérapie)
Semaine 10	Fonction hépatique Numération plaquettaire si pas de retour aux valeurs de référence (avant traitement)
Semaine 11	Fonction hépatique (pour un patient dont la fonction hépatique n'est pas revenue à sa valeur de référence après le traitement, ou pour un patient qui est en période de diminution progressive de la corticothérapie)
Semaine 12	Fonction hépatique Numération plaquettaire si pas de retour aux valeurs de référence (avant traitement)

Pendant et après le troisième mois, des bilans biologiques et des contrôles supplémentaires peuvent être nécessaires dans certains cas, comme indiqué ci-dessous :

- La fonction hépatique doit continuer à être contrôlée chaque semaine jusqu'à la fin de la diminution progressive de la corticothérapie et à chaque fois que la situation clinique le nécessite.
- La numération plaquettaire doit continuer à être surveillée toutes les 2 semaines jusqu'à ce qu'elle revienne à la valeur avant traitement.

FA-11678741 | Version 3 - 10/2026

Checklist récapitulative

La liste ci-dessous récapitule les recommandations à respecter avant le début du traitement, au moment de la perfusion et après la perfusion de Zolgensma®, afin de réduire les risques éventuels associés au traitement par Zolgensma® :

Avant le début du traitement :

- Informer le(s) aidant(s) :
  - Des principaux risques liés à un traitement par Zolgensma® et de leurs signes et symptômes, incluant l'hépatotoxicité, la thrombopénie et la MAT
  - Des modalités d'élimination des déchets corporels
  - De la nécessité de réaliser des bilans sanguins régulièrement
  - De l'importance de la corticothérapie
  - De la nécessité d'une vigilance accrue pour la prévention, la surveillance et la prise en charge d'une infection avant et après la perfusion
- Réaliser des bilans sanguins, incluant une recherche d'anticorps anti-AAV9 pour établir les valeurs initiales ;
- Administrer une dose de corticoïdes 24 heures avant l'administration de Zolgensma® pour atténuer la réponse immunitaire ;
- Analyser le calendrier de vaccinations du patient pour décider s'il doit être adapté ;
- Vérifier l'état de santé général du patient, car le traitement doit être reporté en cas de signes ou de symptômes évocateurs d'une infection ;
- Vérifier le poids du patient pour s'assurer qu'il reçoive la bonne dose de Zolgensma®.

Au moment de la perfusion :

- Vérifier si l'état de santé général du patient est compatible avec la perfusion (notamment résolution des infections) ou si un report est justifié ;
- Vérifier que la corticothérapie a été débutée 24 heures avant la perfusion de Zolgensma® et administrer la dose suivante pour diminuer la réponse immunitaire ;
- Vérifier le poids du patient pour s'assurer qu'il reçoive la bonne dose de Zolgensma® ;
- La perfusion de Zolgensma® est administrée une seule fois ;
- La manipulation appropriée de Zolgensma® doit être respectée ;
- Surveiller étroitement le patient afin de détecter des signes cliniques et des symptômes de réactions liées à la perfusion.

Après la perfusion :

- La corticothérapie doit être poursuivie pendant au moins 2 mois et ne doit pas être diminuée avant que les taux d'ALAT/ASAT soient inférieurs à 2 × LSN, que le taux de bilirubine totale soit normal, et que l'examen clinique soit normal ;
- Une surveillance étroite (clinique et biologique) et à intervalles réguliers de l'évolution du patient doit être effectuée pendant au moins 3 mois ;
- Les patients présentant une détérioration de leur fonction hépatique et/ou des signes ou symptômes d'une atteinte hépatique aiguë doivent consulter rapidement un spécialiste ;
- Si les patients ne répondent pas de façon adéquate à la corticothérapie, ou si une atteinte hépatique est suspectée, un hépato-gastroentérologue pédiatrique doit être consulté rapidement ;
- Surveiller étroitement le patient afin de détecter des signes cliniques et des symptômes de réactions liées à la perfusion ;
- Si une MAT est suspectée, un spécialiste doit être consulté.

Veuillez noter que les informations de sécurité à prendre en compte lors d'un traitement par Zolgensma® ne sont pas limitées aux risques présentés dans ce guide.

Veuillez lire attentivement le RCP de Zolgensma® afin d'obtenir toutes les informations sur la sécurité d'emploi de ce produit.

AAV9, virus adéno-associé de sérotype 9 ; ALAT, alanine aminotransférase ; ASAT, aspartate aminotransférase ; MAT, microangiopathie thrombotique ; RCP, Résumé des Caractéristiques du Produit.

FA-11678741 | Version 3 - 10/2026

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-11678741 | Version 3 - 10/2026

© 2026 Novartis Europharm Limited. Tous droits réservés.

NOVARTIS

zolgensma® ▼
(onasemnogene abeparvovec)