

# Zolgensma® (onasemnogene abeparvovec) : Risque de microangiopathie thrombotique

**Information destinée aux coordinateurs des centres de référence ou de compétence neuromusculaire pédiatrique, neuropédiatres, hématopédiatres, néphropédiatres.**

Zolgensma (onasemnogene abeparvovec) est indiqué dans le traitement de l'amyotrophie spinale (SMA). A ce jour, environ 800 patients ont reçu ce traitement dans le monde. En France, Zolgensma est actuellement disponible en ATU de cohorte.

Des microangiopathies thrombotiques (MAT) ont été rapportées chez des patients atteints d'amyotrophie spinale (SMA) traités par l'onasemnogene abeparvovec, principalement dans les premières semaines suivant le traitement.

La MAT est une maladie aiguë menaçant le pronostic vital caractérisée par une thrombopénie, une anémie hémolytique et une atteinte rénale aiguë.

## Information pour les professionnels de santé

- Un dosage de la créatinine et une numération de la formule sanguine (comprenant le taux d'hémoglobine et la numération plaquettaire) sont désormais nécessaires avant l'administration d'onasemnogene abeparvovec, en complément du bilan biologique initial actuellement recommandé.
- La numération plaquettaire doit être étroitement contrôlée dans la semaine suivant la perfusion, ainsi que la fonction rénale (créatinine et bandelette urinaire) puis à intervalles réguliers (notamment contrôle hebdomadaire pendant le premier mois). En cas de thrombopénie, des analyses complémentaires pour rechercher une anémie hémolytique (schizocytes, dosages haptoglobine et LDH) et un dysfonctionnement rénal doivent être réalisées.
- Si les patients présentent des signes, des symptômes ou des résultats de laboratoire évocateurs d'une MAT, une prise en charge clinique immédiate et multidisciplinaire devra être mise en place.

## Information pour les patients, les familles et aidants

En cas de symptômes évocateurs de la MAT, vous devez consulter un médecin en urgence : par exemple des ecchymoses, des convulsions, une oligurie (diminution du volume des urines).

Consultez le courrier adressé aux professionnels de santé

