

Zolgensma (onasemnogene abeparvovec) : cas d'insuffisance hépatique aiguë d'issue fatale

Information destinée aux coordinateurs des centres de référence ou de compétence neuromusculaire, neurologues, neuropédiatres, hématopédiatres, hépato-gastroentérologues pédiatres, néphropédiatres.

- Deux cas d'insuffisance hépatique aiguë d'issue fatale ont été rapportés chez des patients traités par onasemnogene abeparvovec.
- La fonction hépatique doit être évaluée avant le traitement puis fréquemment surveillée pendant au moins 3 mois après la perfusion et notamment lors de la phase de diminution de la corticothérapie.
- 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 à la corticothérapie, un hépato-gastroentérologue pédiatrique doit être consulté afin d'ajuster le traitement par corticoïdes.
- La corticothérapie doit être poursuivie tant que la fonction hépatique n'est pas revenue à la normale (notamment taux de bilirubine totale normale et taux d'ALAT et d'ASAT inférieurs à $2 \times$ LSN).
- Les aidants doivent être informés du risque d'atteinte hépatique grave et de la nécessité d'une surveillance régulière de la fonction hépatique.

Téléchargez le courrier destiné aux professionnels de santé



PUBLIÉ LE 19/01/2023 - MIS À JOUR LE 01/03/2023

Retour d'information sur le PRAC de janvier 2023 (9 - 12 janvier)

DÉCISIONS EUROPÉENNES - AVIS DU PRAC