

Guide de traitement par 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. 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 au sujet de Zolgensma, parlez-en au médecin, à l'infirmier/ère, au pharmacien ou à tout autre professionnel de santé qui prend en charge votre enfant.

Diffusé sous l'autorité de l'ANSM



Cher parent, aidant ou membre de la famille,

Conservez ce guide ainsi que la notice fournie avec ce médicament.

Ce guide a été élaboré pour fournir des informations 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	11
• Avant le traitement	
• Le jour du traitement	
• Après le traitement	
À quel moment consulter un médecin ?	21
Lexique	22
Définitions utiles des termes utilisés dans ce guide	

À propos de Zolgensma

Zolgensma est utilisé dans le traitement des nourrissons et jeunes enfants atteints de l'amyotrophie spinale (SMA), maladie génétique rare et grave.

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 musculaires, des difficultés respiratoires et à terme une perte de la mobilité.

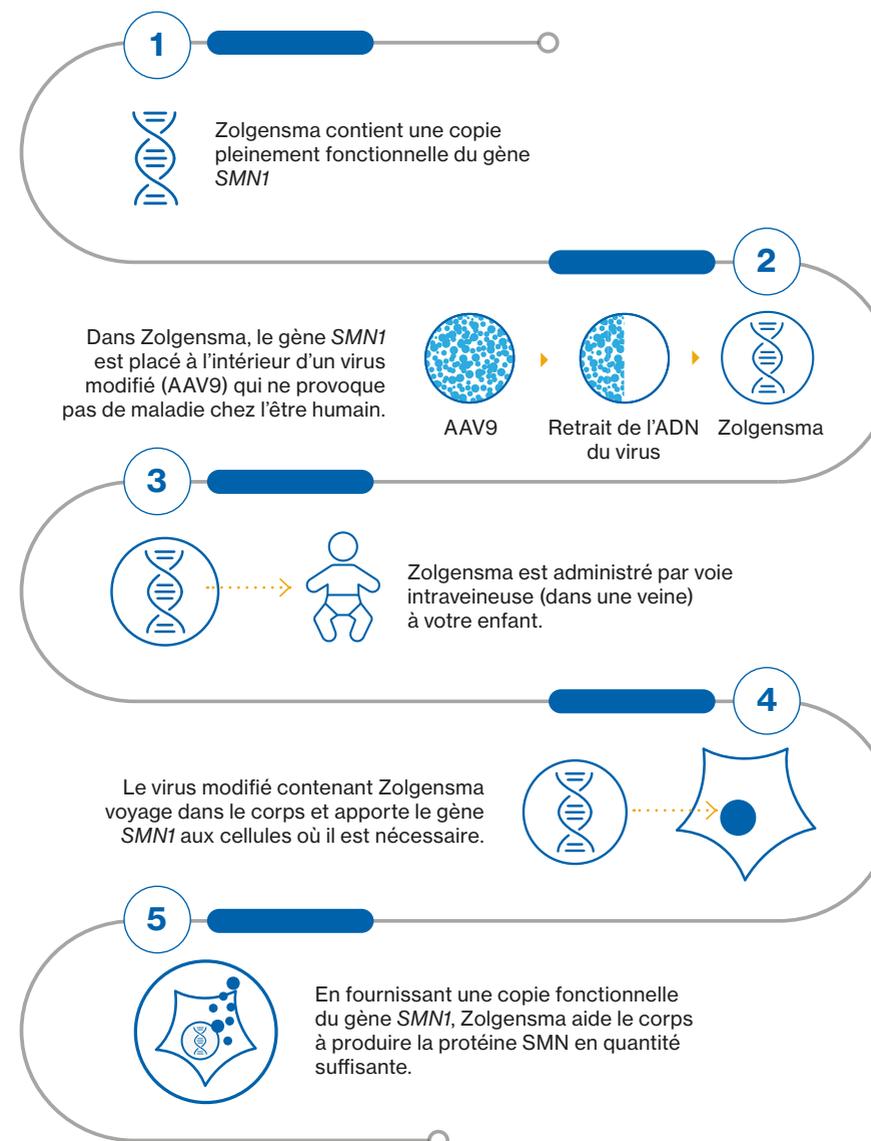
Qu'est-ce que Zolgensma ?

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 ne modifie pas l'ADN de votre enfant, mais remplace la fonction du gène *SMN1* défaillant ou absent. Zolgensma agit en apportant une copie pleinement fonctionnelle du gène *SMN1*, ce qui permet alors à l'organisme de produire suffisamment de protéine SMN. Cette copie du gène est apportée vers les cellules où elle est nécessaire par un transporteur de gènes, appelé "vecteur".

Le vecteur qui transporte le gène *SMN1* provient d'un virus modifié, appelé AAV9, dans lequel on remplace d'ADN viral par le gène *SMN1*.



Zolgensma dans le cas de la SMA à un stade avancé

Zolgensma peut sauvegarder 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.

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/ERE, SON PHARMACIEN OU TOUT AUTRE PROFESSIONNEL DE SANTÉ.



Informations de sécurité importantes ; savoir à quel moment consulter un médecin

Afin de déterminer si Zolgensma convient à votre enfant, le médecin de votre enfant demandera des analyses pour rechercher la présence d'anticorps avant le traitement.



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. 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. 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.



Coagulation anormale du sang

Zolgensma peut augmenter le risque de coagulation anormale du sang dans les petits vaisseaux sanguins (microangiopathie thrombotique). 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.



Diminution du taux de plaquettes

Zolgensma peut provoquer une diminution du taux de plaquettes (thrombopénie), ce qui peut aussi entraîner une anomalie de la coagulation. 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.



Troponine I

Zolgensma peut provoquer une augmentation du taux d'une protéine cardiaque, appelée troponine I, ce qui peut indiquer une atteinte cardiaque. Les signes possibles de problèmes cardiaques que vous devrez surveiller après traitement de votre enfant par Zolgensma sont : une coloration gris pâle ou bleue de la peau, des difficultés pour respirer (par exemple, respiration rapide, essoufflement), un gonflement des bras et des jambes ou du ventre.

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.
Dans les semaines suivant 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 et de troponine I.
C'est le médecin de votre enfant qui décidera pendant combien de temps ces examens sont nécessaires.



Veillez-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.

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.



Allergies

Votre enfant ne peut 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).



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.



Corticoïdes

Votre enfant recevra des corticoïdes (prednisolone ou équivalent) pendant une certaine durée avant et après le traitement par Zolgensma. 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. Pour toute question concernant les corticoïdes, adressez-vous au médecin, à l'infirmier/ère, au pharmacien ou à tout autre professionnel de santé qui prend en charge votre enfant.



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.



Infection

Si votre enfant développe une infection (par exemple, rhume, grippe ou bronchiolite) avant ou après avoir été traité par Zolgensma, cela pourrait entraîner des complications plus graves.

Vous devez immédiatement informer le médecin de votre enfant si vous remarquez que votre enfant présente l'un de ces symptômes :

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

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).
- **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.
- **Peau de couleur gris pâle ou bleue, difficultés respiratoires** (par exemple, respiration rapide, essoufflement), **gonflement des bras et des jambes ou du ventre** – ces signes peuvent correspondre à un problème cardiaque.
- **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

1. 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.



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.



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. S'il présente des symptômes 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. Vous trouverez à la page 9 les signes d'une éventuelle infection.

2. Le jour du traitement

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



Corticoïdes

Le jour du traitement, 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. 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.



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.



UNE
SEULE
FOIS

Zolgensma sera administré à votre enfant en UNE FOIS seulement.

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.

CONSULTEZ UN MÉDECIN EN URGENCE SI VOTRE ENFANT DÉVELOPPE L'UN DES EFFETS INDÉSIRABLES GRAVES 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).
- **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.
- **Peau de couleur gris pâle ou bleue, difficultés respiratoires** (par exemple, respiration rapide, essoufflement), **gonflement des bras et des jambes ou du ventre** – ces signes peuvent correspondre à un problème cardiaque.
- **Toux, respiration sifflante, écoulement nasal, mal de gorge ou fièvre** – ces signes peuvent correspondre à une infection (rhume, grippe ou bronchiolite).

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

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, parlez-en immédiatement à son médecin, son l'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 événements sanitaires indésirables du ministère chargé de la santé www.signalement-sante.gouv.fr.

Pour plus d'information, consulter la rubrique "Déclarer un effet indésirable" sur le site Internet de l'ANSM : <http://ansm.sante.fr>. En signalant les effets indésirables, vous contribuez à fournir davantage d'informations sur la sécurité du médicament.

3. Après le traitement



Corticoïdes

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, à l'infirmier/ère, au pharmacien ou à tout autre professionnel de santé qui prend en charge votre enfant tout vomissement ou prise manquée (quel que soit la raison) survenant après le traitement par Zolgensma.



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 seront effectuées pendant au moins 3 mois après le traitement pour surveiller une éventuelle augmentation des enzymes hépatiques ;
- les taux de plaquettes et de troponine I – ces analyses seront effectuées durant une certaine durée après le traitement, selon l'avis du médecin.



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 ou déchets corporels 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.

3. Après le traitement

Traitements symptomatiques

Zolgensma ne dispense pas des traitements symptomatiques supplémentaires utilisés pour soigner les personnes atteintes de SMA.

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



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**,
- **une peau de couleur gris pâle ou bleue, des difficultés respiratoires** (par exemple, respiration rapide, essoufflement) ou **un gonflement des bras et des jambes ou du ventre**.

Signalez immédiatement à votre médecin tout signe d'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.

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

Lexique

Acide désoxyribonucléique (ADN)

L'ADN, ou acide désoxyribonucléique, 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.

Gènes

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 défectueuses 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.

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 défectueux, 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 SMN.

Pour plus d'informations sur le produit, consultez la notice fournie avec ce médicament ou 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 Gene Therapies France S.A.S.

Service d'Information Médicale

33 avenue du Maine 75015 Paris

Tél. 01.55.47.63.30 - Fax : 01.55.47.63.34

medinfoemea.gtx@novartis.com

<https://medinfo.novartis.com/gene-therapies/emea/>

FR-ZOL-21-0030 V1.0

© 2021 Novartis Gene Therapies. Tous droits réservés.

 **NOVARTIS**

 **zolgensma**[®]
(onasemnogene
abeparvovec)