

Qui sommes-nous ?

Actualités

Bulletin officiel des actes,  
décisions et avis

Disponibilité des produits de  
santé

Vos démarches

Documents de référence

Informations de sécurité

Dossiers thématiques

Espace presse

Contactez-nous



[< Retour](#)

[ACTUALITÉS](#) > [DÉCISIONS EUROPÉENNES](#) > [AVIS DU PRAC](#) > [RETOUR D'INFORMATION SUR LE PRAC DE JANVIER 2023 \(...\)](#)



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

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



Le PRAC alerte les professionnels de santé sur le risque d'insuffisance hépatique aiguë d'évolution potentiellement fatale avec le médicament de thérapie génique Zolgensma, utilisé pour le traitement de l'amyotrophie spinale. Il propose de nouvelles recommandations de suivi hépatique.

### Zolgensma (onasemnogene abeparvovec) : cas fatals d'insuffisance hépatique aiguë

Zolgensma (onasemnogene abeparvovec) est un médicament de thérapie génique indiqué chez l'enfant dans une maladie rare, l'amyotrophie spinale.

Deux cas d'insuffisance hépatique aiguë d'issue fatale ont été récemment rapportés chez des patients traités par Zolgensma, conduisant à renforcer la surveillance de la fonction hépatique, notamment avec un contrôle hebdomadaire pendant la phase de diminution des corticoïdes. Par ailleurs, en cas d'aggravation des tests de la fonction hépatique et/ou de signes ou symptômes d'atteinte hépatique aiguë, les professionnels de santé doivent prendre en charge les patients rapidement, en ajustant le traitement par corticoïdes et en ayant recours à l'avis d'un gastro-entérologue pédiatrique ou un hépatologue. Les corticoïdes doivent être poursuivis tant que les tests de la fonction hépatique ne sont pas revenus à la normale.

Le résumé des caractéristiques du produit et la notice seront mis à jour en conséquence, ainsi que le matériel éducatif. Un courrier sera prochainement envoyé aux professionnels de santé concernés pour les informer des cas fatals rapportés et des nouvelles recommandations pour la surveillance hépatique.

Lire aussi :

- [+ Meeting highlights from the Pharmacovigilance Risk Assessment Committee \(PRAC\) 9 - 12 January 2023](#)
- [+ Zolgensma \(onasemnogene abeparvovec\) : Risque de microangiopathie thrombotique \(lettre aux professionnels de santé en avril 2021\)](#)
- [+ Mesures additionnelles de réduction du risque de Zolgensma](#)

---

RISQUES MÉDICAMENTEUX • MÉDICAMENTS PUBLIÉ LE 01/03/2023

### 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, hémato-pédiatres, hépato-gastroentérologues pédiatres, néphropédiatres.

---