



 **zolgensma**[®]
(onasemnogén
abeparvovéc)

Acceso a Zolgensma[®]: Nuevo acuerdo con el Ministerio de Salud de la Nación

Pablo Pérez – Gene Therapy Access &
Marketing Lead, Novartis



CONTINÚA Y SE AMPLÍA LA COBERTURA DE TERAPIA GÉNICA*

Novartis Argentina y el Ministerio de Salud de la Nación han celebrado un **nuevo acuerdo** diseñado bajo la estrategia de riesgo compartido para que bebés con atrofia muscular espinal (**AME**) puedan acceder a la **terapia génica** para el tratamiento de esta enfermedad, independientemente de la cobertura de salud que posean: Pública, semi-pública o privada.

Los bebés que cumplan estos criterios objetivos de inclusión son candidatos a evaluación por la CONAME# para recibir la Terapia Génica*:



Diagnóstico Genético	Copias SMN2	Edad	Respiración	Alimentación
Atrofia Muscular Espinal (AME)	Hasta 3 (tres) copias del gen SMN2	Hasta nueve (9) meses de edad inclusive (al momento de la prescripción).	Sin soporte ventilatorio o VNI (ventilación no invasiva) hasta 16 (dieciséis) horas/día en ausencia de un evento agudo reversible.	Alimentación oral exclusiva



FA-11536800 102025

*Pliego: PLIEG-2025-80101493-APN-DCYC#MS
#Comisión Nacional de Atrofia Muscular Espinal



1. Waldrop MA, et al. Long-Term Follow-Up of Onasemnogene Apeparvovec Gene Therapy for Patients with Spinal Muscular Atrophy Type 1 from the START Trial. Presentado en el Muscular Dystrophy Association (MDA) 2025 Clinical & Scientific Conference, 16-19 de marzo de 2025, Dallas, Texas, USA. Poster-P27 2. Novartis Q2 2025 Condensed Interim Financial Report - Supplementary Data. Disponible en: https://www.novartis.com/sites/novartis_com/files/2025-07-interim-financial-report-en.pdf. Último acceso: 2025.



44º CONGRESO
SANI 2025
SOCIEDAD ARGENTINA DE NEUROLOGÍA INFANTIL



23 AL 25 DE OCTUBRE
ROSARIO

>5000
pacientes
tratados^{1,2}

10
AÑOS
eficacia
sostenida^{1,2*}

EL PROCESO ES SENCILLO:



Prescripción

El médico genera la prescripción.
Carga digital de los datos del paciente en la web de la CONAME



Test

Test Anticuerpos anti-AAV9 (a través del PSP* de Novartis: 0800-444-3367)



Evaluación

La CONAME evalúa y aprueba la prescripción.
<https://sses.msal.gov.ar/ame/>



Importación

Con la conformidad de la CONAME se inicia el proceso de importación ad-hoc para el paciente



Infusión

Envío directo de la medicación al Centro de Infusión



*Programa de Soporte al Paciente

Contenido para uso exclusivo del profesional de la salud. Prohibida su exhibición y/o entrega a pacientes, consumidores y/o público en general.



Novartis Argentina S.A. Ramallo 1851 C1429DUC
Ciudad de Buenos Aires Argentina Tel. 0800-777-1111

zolgensma®
(onasemnogén
abeparvovéc)



1. Waldrop MA, et al. Long-Term Follow-Up of Onasemnogene Aboaparvovect Gene Therapy for Patients with Spinal Muscular Atrophy Type 1 from the START Trial. Presentado en el Muscular Dystrophy Association (MDA) 2025 Clinical & Scientific Conference, 16-19 de marzo de 2025, Dallas, Texas, USA. Poster-P27 2. Novartis Q2 2025 Condensed Interim Financial Report – Supplementary Data. Disponible en: https://www.novartis.com/sites/novartis_com/files/2025-07-interim-financial-report-en.pdf. Último acceso: 2025.



44º CONGRESO
SANI 2025
SOCIEDAD ARGENTINA DE NEUROLOGÍA INFANTIL



23 AL 25 DE OCTUBRE
ROSARIO



 **zolgensma**[®]
(onasemnogén
abeparvovéc)

Acceso a Zolgensma[®]: Programa de soporte al paciente

Daiana Haberkorn – Customer Service & Operations Manager
Medical Excellence, Novartis

>5000
pacientes
tratados^{1,2}

10
AÑOS
eficacia
sostenida^{1,2+}

Servicios de Programa de Pacientes

zolgensma®
(onasemnogén
abeparvovec)



PRIMER PASO

Prescripción de Zolgensma®

Para que el paciente **pueda acceder** a los servicios deberá **enrolarse** a Viviendo Mejor



Enrolamiento PSP

Estudios Pre-infusión

Testeo genético AAV9 + Laboratorio basal

Vías de enrolamiento



+54911 4028 3671

0800-444-3367
programa.pacientes@novartis.com
www.viviendomejor.com.ar



1. Waldrop MA, et al. Long-Term Follow-Up or Onasemnogene ABEparovect Gene Therapy for Patients with Spinal Muscular Atrophy Type 1 from the START Trial. Presentado en el Muscular Dystrophy Association (MDA) 2025 Clinical & Scientific Conference, 16–19 de marzo de 2025, Dallas, Texas, USA. Poster-P27.2. Novartis Q2 2025 Condensed Interim Financial Report – Supplementary Data. Disponible en: <https://www.novartis.com/sites/novartis.com/files/2025/07-interim-financial-report-en.pdf>. Último acceso: 2025.



44^o CONGRESO
SANI 2025 
SOCIEDAD ARGENTINA DE NEUROLOGÍA INFANTIL

23 AL 25 DE OCTUBRE
• ROSARIO

Servicios PSP Zolgensma®

>5000
pacientes
tratados^{1,2}

10
AÑOS
eficacia
sostenida^{1,2*}

ACCESO



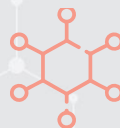
**Asesoramiento
especialista en
acceso**

ACOMPANIAMIENTO
telefónico, virtual o
presencial y
asesoramiento



**Soporte al
profesional de la
salud**

**SOPORTE EN LA
CARGA DE
INFORMACIÓN** en la
web de CONAME /
Financiador de salud



**Estudios de control
post infusión**

**Según la
periodicidad
sugerida por
prospecto**



**Camino a su
tratamiento**

GUÍA ORIENTATIVA
paso a paso para
gestionar la
medicación ante la
cobertura de salud.

AAV9



BASAL



Programa de pacientes
TERAPIA GÉNICA

Viviendo Mejor
Programa de Soporte a Pacientes

Pruebas de Laboratorio
Pre-Infusión de onasemnógen abeparvovec

Nombre del paciente: _____
DNI: _____

- Anticuerpos anti-AAV9
- Evaluación de la función hepática:
 - AST (aspartato aminotransferasa)
 - ALT (alanina aminotransferasa)
 - Bilirrubina total
 - Tiempo de protrombina
 - Albumina
 - PTT
 - RIN
- Creatinina
- Hemograma completo con recuento de plaquetas y hemoglobina
- Troponina-I

Firma y sello del médico: _____
Fecha: _____

Servicios PSP Zolgensma®

zolgensma®
(onasemnogén
abeparvovéc)

>5000
pacientes
tratados^{1,2}

10
AÑOS
eficacia
sostenida^{1,2*}

POST INFUSIÓN

Sabemos que la infusión es el punto de partida



Análisis de laboratorio de acuerdo a prospecto vigente

Laboratorios post-infusión

Programa de pacientes
TERAPIA GÉNICA

Viviendo Mejor
Programa de Soporte a Pacientes

Pruebas de Laboratorio
Post-Infusión de onasemnogén
abeparvovéc

Mes 1
Semana 1

Nombre del paciente: _____
DNI: _____

Fecha sugerida para la realización del estudio: _____

■ Evaluación de la función hepática:
- AST (aspartato aminotransferasa)
- ALT (alanina aminotransferasa)
- Bilirrubina total

■ Hemograma completo con recuento de plaquetas y hemoglobina

■ Troponina-I

Firma y sello del médico: _____
Fecha: _____



Cuadernillo para familia de niños con AME

MATERIAL EDUCATIVO sobre la patología y el tratamiento.



Talleres psicoeducativos

Encuentros virtuales que brindan **RECURSOS** de afrontamiento para la situación vital que las familias atraviesan.



Sesiones virtuales de kinesiología

ENCUENTROS VIRTUALES basados Guía de Atención Pediátrica de Manejo de AME y en las características individuales de cada paciente.



Kit de rehabilitación motora y sensorial

Para la **REHABILITACIÓN** motora y sensorial del paciente