SERVICIO DE SALUD DEL PRINCIPADO DE ASTURIAS	**Hospital Universitario Central de Asturias**	Nº Historia Clínica		
		Nombre:		
	Tipo de documento: **Consentimiento Informado**	Primer Apellido		
		Segundo Apellido		
	Fecha:	CIP CA		
	Médico responsable:	DNI/T.Residente/ Pasaporte		
		Fecha de nacimiento		Sexo:

CONSENTIMIENTO PARA "ADMINISTRACIÓN DE TERAPIA GÉNICA CON ONASEMNOGÉN ABEPARVOVEC (ZOLGENSMA®) PARA ATROFIA MUSCULAR ESPINAL 5q"

DESCRIPCIÓN DEL PROCEDIMIENTO

Su hijo o hija tiene un diagnóstico confirmado de atrofia muscular espinal (AME) 5q, una enfermedad genética causada por una alteración en las dos copias del gen SMN1. Esta alteración hace que se produzca una cantidad insuficiente de proteína SMN, necesaria para la supervivencia y el funcionamiento de las neuronas que controlan los músculos (motoneuronas).

Se propone tratamiento con onasemnogén abeparvovec (Zolgensma®), una terapia génica que utiliza un vector derivado del virus adenoasociado de serotipo 9 (AAV9) (virus muy simple, dependiente de otro virus para multiplicarse, no patógeno en humanos y útil para la terapia génica), sin capacidad de replicarse, para llevar a las células una copia funcional del gen SMN1. El objetivo es aumentar la producción de proteína SMN y favorecer la supervivencia y la función de las motoneuronas.

El tratamiento puede aumentar la supervivencia sin ventilación permanente y favorecer la adquisición o conservación de capacidades motoras. El beneficio no es igual en todos los niños y suele ser mayor cuanto más precozmente se administra, antes de que se haya producido un daño neuromuscular irreversible importante. No puede garantizarse la curación, un desarrollo motor normal ni que desaparezca la necesidad de cuidados respiratorios, nutricionales, rehabilitadores u otros apoyos.

Zolgensma® se administra una sola vez mediante una perfusión intravenosa lenta de aproximadamente 60 minutos. La dosis se calcula según el peso. Antes de administrarlo se realizan análisis para comprobar, entre otros aspectos, los anticuerpos frente a AAV9, la función del hígado y del riñón, el hemograma y las plaquetas, y los niveles de troponina I cardíaca (esta es una proteína que está en los músculos, especialmente en el corazón, niveles elevados sugieren que puede haber ocurrido algún daño cardíaco).

Si existe una infección activa o el estado general no es estable, puede ser necesario aplazar el tratamiento.

Para reducir la respuesta inmunitaria al vector se administra un corticosteroide sistémico, habitualmente prednisolona o equivalente, desde 24 horas antes de la perfusión. Se mantiene al menos durante los primeros 30 días y después se reduce de forma gradual si la situación clínica y los análisis, especialmente los del hígado, lo permiten. En algunos pacientes puede ser necesario prolongarlo o modificarlo.

Después de la perfusión son necesarios controles clínicos y análisis de sangre frecuentes. La función hepática debe vigilarse durante al menos 3 meses y también se controlan las plaquetas y otros parámetros según la situación clínica. El calendario de vacunación puede necesitar ajustes mientras se administran corticosteroides y deben extremarse las medidas para prevenir y detectar infecciones.

Antes del tratamiento recibirán un plan escrito con la medicación, los controles, el centro responsable y las instrucciones de actuación ante signos de alarma (**hoja de información y cuidados para la familia)**.

Durante un tiempo después del tratamiento puede eliminarse material del vector principalmente por las heces. Durante al menos un mes deben seguirse medidas especiales de higiene al manipular pañales y otros desechos corporales. Estas medidas, los signos de alarma y el calendario de controles se explicarán en una hoja específica para cuidadores.

La **hoja de información y cuidados para la familia** se entregará y explicará antes de la administración. Si aparece alguno de los signos de alarma descritos acuda al Servicio de Urgencias del Hospital Universitario Central de Asturias (HUCA), si se trata de una emergencia vital, llame al 112.

La administración es de dosis única. Pueden retirar la autorización antes de iniciar el tratamiento. Si solicitan detener una perfusión en curso, el equipo atenderá de inmediato la solicitud. La cantidad de medicamento ya administrada no puede retirarse del organismo. Retirar la autorización no implica renunciar a la asistencia sanitaria ni a la valoración de alternativas. Al tratarse de una terapia génica existen incertidumbres sobre algunos efectos a muy largo plazo, por lo que deberá mantenerse el seguimiento que indique el equipo clínico. Tras recibir Zolgensma®, el paciente no deberá donar sangre, órganos, tejidos ni células para trasplante.

RIESGOS Y COMPLICACIONES

Riesgos típicos y complicaciones:

- **Alteraciones del hígado.** La elevación de las enzimas hepáticas es muy frecuente. El daño en el hígado, denominado hepatotoxicidad, es frecuente. En casos poco frecuentes se ha descrito fallo hepático agudo, incluidos casos con desenlace mortal. Por este motivo se administran corticosteroides y se realizan controles analíticos estrechos antes y después de la perfusión.
- **Disminución de plaquetas (trombocitopenia).** Es frecuente y suele ser transitoria, sobre todo durante las primeras semanas. En algunos casos puede ser marcada y requiere vigilancia y o tratamiento así como controles estrechos mediante análisis de sangre.
- **Microangiopatía trombótica.** Es una complicación poco frecuente pero potencialmente mortal que suele aparecer durante las primeras semanas. Puede producir destrucción de glóbulos rojos, disminución de plaquetas y daño renal agudo, y requiere valoración y tratamiento urgente.
- **Aumento de troponina.** Es frecuente observar elevación de este marcador cardíaco. Puede indicar posible afectación del músculo del corazón y se controla antes del tratamiento y después cuando esté clínicamente indicado.
- **Reacciones durante o poco después de la perfusión.** Pueden aparecer reacciones relacionadas con la perfusión, como vómitos, erupción, cambios en la tensión arterial o en la frecuencia cardíaca y dificultad respiratoria. Son poco frecuentes. Se han descrito reacciones alérgicas graves (anafilaxia), que son raras.
- **Respuesta inmunitaria e infecciones.** El tratamiento provoca una respuesta inmunitaria frente al vector y los corticosteroides pueden reducir las defensas frente a algunas infecciones. Las infecciones pueden ser más graves y, si existe una infección activa antes de la perfusión, puede ser necesario aplazar el tratamiento.
- **Otros efectos frecuentes.** Pueden aparecer vómitos y fiebre.
- **Incertidumbre a largo plazo por integración del vector.** De forma infrecuente, parte del ADN del vector podría integrarse aleatoriamente en el ADN de algunas células. Se desconoce la relevancia clínica de este fenómeno y existe un riesgo teórico de contribuir a la aparición de un tumor. Hasta la fecha de esta revisión no se han notificado neoplasias malignas asociadas al tratamiento con onasemnogén abeparvovec.

Riesgos personalizados:

Estos riesgos están relacionados con el estado de salud previo del paciente. El profesional responsable consignará únicamente los que sean aplicables al caso concreto. Entre las circunstancias que pueden modificar el riesgo o el beneficio se encuentran:

- Enfermedad hepática previa, alteraciones importantes de la función hepática o hepatitis viral activa.
- Insuficiencia renal, situación en la que la seguridad y la eficacia no están bien establecidas.
- Infección activa o estado general inestable, que pueden obligar a aplazar el tratamiento.
- Uso de otros medicamentos con posible toxicidad hepática o situaciones que aumenten el riesgo de infección durante el tratamiento con corticosteroides.
- Títulos elevados de anticuerpos frente a AAV9, que pueden modificar la posibilidad de administrar el tratamiento.
- Enfermedad neuromuscular muy avanzada, con debilidad profunda, ventilación permanente o incapacidad para tragar, situaciones en las que el beneficio esperado puede ser mucho menor.
- Prematuridad antes de alcanzar la edad gestacional a término, edad de 2 o más años o peso superior a 13,5 kg, situaciones en las que la experiencia clínica es limitada.
- Tratamiento previo o concomitante con otras terapias modificadoras de la AME, situación en la que la experiencia disponible es limitada y requiere valoración individual.

Riesgos individualizados en este paciente (cumplimentar este apartado en todos los casos)

-

-

ALTERNATIVAS

Existen otros tratamientos modificadores de la enfermedad para la AME 5q que pueden ser alternativas en determinados pacientes, entre ellos nusinersén, que se administra mediante inyecciones intratecales repetidas, y risdiplam, que se administra por vía oral de forma continuada. La elección depende de las características del paciente, la evidencia disponible, los riesgos y beneficios esperados y las condiciones de acceso aplicables.

No existe evidencia suficiente para afirmar que una de estas opciones sea la mejor para todos los pacientes. El equipo clínico explicará cuál o cuáles son alternativas razonables en el caso concreto.

Además, la atención de la AME incluye medidas de soporte respiratorio, nutricional, rehabilitador, fisioterápico y ortopédico según las necesidades del paciente. Estos cuidados pueden seguir siendo necesarios aunque se administre una terapia modificadora de la enfermedad.

Si se decide no administrar Zolgensma®, se valorarán las demás alternativas clínicamente apropiadas. Rechazar esta terapia no supone renunciar a la asistencia sanitaria. Sin un tratamiento modificador eficaz, la AME 5q es una enfermedad progresiva que puede producir pérdida de fuerza y capacidades motoras, dificultades para respirar o tragar y, en las formas más graves, muerte prematura.

INFORMACIÓN SOBRE MUESTRAS E IMÁGENES

- A veces es necesario tomar muestras biológicas para estudiar mejor su caso. Pueden ser conservadas y utilizadas posteriormente para realizar investigaciones relacionadas con la enfermedad que usted padece. No se usaran directamente para fines comerciales. Si fueran a ser utilizadas para otros fines distintos se le pediría posteriormente el consentimiento expreso para ello. Si no da su consentimiento para ser utilizadas en investigación, las muestras se destruirán una vez dejen de ser útiles para documentar su caso, según las normas del centro. En cualquier caso, se protegerá adecuadamente la confidencialidad en todo momento.

  Rechazar esa propuesta no afectará al tratamiento ni a la calidad de la asistencia.

- Si se necesitan fotografías o vídeos para documentar la evolución clínica del menor, se explicarán su finalidad y las medidas de protección. Los usos docentes o de difusión científica se plantearán por separado, concretando las imágenes, las finalidades, los destinatarios o canales y la posibilidad de identificación. Se explicarán las condiciones de retirada de la autorización y los límites para recuperar material ya difundido. Rechazar estos usos no afectará a la asistencia.

SERVICIO DE SALUD DEL PRINCIPADO DE ASTURIAS	**Hospital Universitario Central de Asturias**	Nº Historia Clínica		
		Nombre:		
	Tipo de documento: **Consentimiento Informado**	Primer Apellido		
		Segundo Apellido		
	Fecha:	CIP CA		
	Médico responsable:	DNI/T.Residente/ Pasaporte		
		Fecha de nacimiento		Sexo:

DECLARACIONES Y FIRMAS

Representante 1.....; documento identificativo y título de representación .....

Representante 2, cuando corresponda,.....; documento identificativo y título de representación .....

Quien o quienes suscribimos este documento, actuando en representación del menor identificado, hemos recibido una explicación comprensible sobre la enfermedad, el tratamiento con onasemnogén abeparvovec, el beneficio esperado en su caso, los riesgos relevantes, las incertidumbres, las alternativas y los cuidados posteriores. Hemos podido plantear nuestras dudas y recibir respuesta. Tras valorar esta información, autorizamos la administración del tratamiento descrito al menor, atendiendo a su beneficio y bienestar. La autorización es voluntaria y puede retirarse en los términos explicados en este documento. Hemos recibido una copia del consentimiento y la hoja de cuidadores.

(NOTA: Márquese con una cruz.)
___SI ___NO Deseo ser informado acerca del procedimiento que se me va a realizar, sobre sus riesgos y complicaciones.
___SI ___NO Autorizo la conservación y utilización posterior de mis muestras biológicas para investigación relacionada directamente con la enfermedad que padezco.
___SI ___NO Autorizo que, en caso de que mis muestras biológicas vayan a ser utilizadas en otras investigaciones diferentes, los investigadores se pongan en contacto conmigo para solicitarme consentimiento.

Las decisiones sobre investigación con muestras y usos docentes o públicos de imágenes se recabarán mediante información y autorizaciones específicas e independientes de esta decisión terapéutica.

Firma de quien o quienes representan al menor	**Firma del médico que informa**
D./Dña.……	Dr./Dra ……..
Fecha: ……..	Fecha: ……..
Hora	Hora .....
Representante 2, cuando corresponda:	
D./Dña.……	
Fecha: ……..	
Hora	

La información se adaptará a las necesidades y preferencias de la familia, asegurando que quien autoriza comprenda lo esencial para decidir en beneficio del menor. Pueden solicitar aclaraciones y los apoyos que necesiten.

SERVICIO DE SALUD DEL PRINCIPADO DE ASTURIAS	**Hospital Universitario Central de Asturias**	Nº Historia Clínica		
		Nombre:		
	Tipo de documento: **Consentimiento Informado**	Primer Apellido		
		Segundo Apellido		
	Fecha:	CIP CA		
	Médico responsable:	DNI/T.Residente/ Pasaporte		
		Fecha de nacimiento		Sexo:

REVOCACIÓN DEL CONSENTIMIENTO:

D./Dña. …… con D.N.I.: ……

Título de representación de quien revoca ..... .

____**REVOCO** la autorización para administrar onasemnogén abeparvovec al menor identificado. Se me han explicado las consecuencias previsibles de esta decisión, las alternativas y el plan de atención. La retirada de autorización no implica renunciar a su asistencia sanitaria. Si la perfusión ya se había iniciado, el equipo atenderá de inmediato la solicitud y adoptará las medidas necesarias para proteger al menor; la cantidad ya administrada no puede retirarse del organismo.

____**REVOCO** el consentimiento para la conservación y utilización posterior de mis muestras biológicas para investigación relacionada directamente con la enfermedad que padezco.

____**REVOCO** el consentimiento para que, en caso de que mis muestras biológicas vayan a ser utilizadas en otras investigaciones diferentes, los investigadores se pongan en contacto conmigo para solicitarme consentimiento.

Las revocaciones relativas a investigación o difusión de imágenes se tramitarán de forma independiente, conforme a sus autorizaciones específicas.

Firma del representante que revoca	**Firma del médico que informa**
D./Dña. ……	Dr./Dra ……..
Fecha: ……..	Fecha: ……..
Hora	Hora .....

SERVICIO DE SALUD DEL PRINCIPADO DE ASTURIAS	**Hospital Universitario Central de Asturias**	Nº Historia Clínica		
		Nombre:		
	Tipo de documento: **Consentimiento Informado**	Primer Apellido		
		Segundo Apellido		
	Fecha:	CIP CA		
	Médico responsable:	DNI/T.Residente/ Pasaporte		
		Fecha de nacimiento		Sexo:

PROTECCIÓN DE DATOS DE CARÁCTER PERSONAL *Nota de revisión: comprobar con el delegado de protección de datos la adecuación de esta información a los circuitos reales de asistencia, farmacovigilancia y, si existen, registros o comunicaciones externas. Las autorizaciones de investigación y difusión de imágenes requieren información propia. No se presume que existan transferencias internacionales.*		
Responsable del tratamiento	SESPA	SERVICIO DE SALUD DEL PRINCIPADO DE ASTURIAS Plz. del Carbayón, 1, CP 33001, Oviedo (Asturias). Web: www.astursalud.es .Teléfono: (+34) 985108500
		Contacto DPD: delegadoprotecciondatos.sespa@sespa.es
Finalidad del tratamiento	Gestión de la asistencia sanitaria.	Los datos personales y de salud que se obtengan con motivo de su asistencia tienen como finalidad llevar ésta a cabo, así como la gestión financiera, organizativa, de facturación y cumplimiento de deberes legalmente impuestos en materia de Salud Pública
		Indefinidamente, de acuerdo al Decreto 51/2019, de 21 de junio, por el que se regulan la historia clínica y otra documentación clínica. Los datos que no sean objeto de conservación indefinida, conforme a las estipulaciones del Decreto referido, se conservarán durante un plazo de 25 años una vez concluida la finalidad para la que fueron recogidos, de acuerdo a la Ley del Principado de Asturias 1/2001, de 6 de marzo, de Patrimonio Cultural, que obliga a mantener la documentación de los organismos señalados en su artículo 80, entre los cuales se encontraría el Servicio Asturiano de Salud, salvo que, conforme se señala en su artículo 90, labores de selección y expurgo habituales en la gestión de archivos y bibliotecas, de acuerdo a los calendarios de conservación que se definan en el ámbito de la entidad, puedan justificar su supresión Este plazo estará, además, justificado, una vez que ya estarán prescritas las acciones para perseguir las infracciones penales más graves recogidas en el Código Penal, al igual que las acciones para perseguir las infracciones civiles más graves recogidas en el Código Civil, por lo que se considera un periodo garantista, en atención a estas leyes, de acuerdo al deber de transparencia consagrado en la Ley 19/2013, de 9 de diciembre, de transparencia, acceso a la información pública y buen gobierno, así como para poder cumplir con las excepciones mencionadas en el artículo 17.3 RGPD, principalmente, la formulación, el ejercicio y la defensa de posibles reclamaciones No obstante, los datos personales podrán conservarse durante períodos más largos siempre que se traten exclusivamente con fines de archivo en interés público, fines de investigación científica o histórica o fines estadísticos, de acuerdo a la legislación sobre documentación y archivo del Principado de Asturias. En concreto, se atenderá a los dictámenes de la Comisión de Calificación y Valoración de documentos administrativos del Principado de Asturias durante el proceso de calificación de los documentos generados o recibidos por los órganos administrativos, y que determinará las pautas a seguir en relación a los criterios de gestión, valoración, transferencia, eliminación y acceso a los documentos, conforme se estipula en la Política de Gestión de Documentos del Principado de Asturias, aprobada por Resolución de 22 de marzo de 2016 por la Consejería de Presidencia y Participación Ciudadana, basada, a su vez, en el Decreto 21/96, de 6 de junio, por el que se regula la organización y funcionamiento del sistema de archivos administrativos del Principado de Asturias.
		La información recogida en esta ocasión no será objeto de decisiones completamente automatizadas.
Legitimación	Interés público o ejercicio de poderes públicos.	RGPD: 6.1.e) Tratamiento necesario para el cumplimiento de una misión realizada en interés público o en el ejercicio de poderes públicos conferidos al responsable del tratamiento. RGPD: Artículo 9.2.h) en lo que categorías especiales de datos se refiere. Ley 7/2019, de 29 de marzo, de salud. Decreto 51/2019, de 21 de junio, por el que se regulan la historia clínica y otra documentación clínica. Disposición Adicional 17 de la Ley Orgánica 3/2018
		Los datos que se recaban tienen por objeto prestar la asistencia sanitaria solicitada por el interesado, teniendo este la obligación de facilitar los datos que fueran necesarios a tal fin.
Destinatarios de los datos (cesiones o transferencias)	Los datos podrán ser cedidos o comunicados.	Los datos podrán ser cedidos o comunicados, en su caso, a Consejerías del Principado de Asturias con competencias en la materia, a las residencias ERA si estuviera previamente justificado, a Juzgados o Tribunales para la persecución de potenciales ilícitos, o a Mutuas que actúen como entidades gestoras de la seguridad social, además de otros casos recogidos expresamente en la ley.
	No se prevén transferencias internacionales.	
Derechos	Podrá ejercitar los derechos de Acceso, Rectificación y Supresión, o en su caso, Limitación y Oposición.	Para ejercitar los derechos deberá presentar un escrito en la dirección arriba señalada, en el Registro de la entidad, o a través de nuestra Sede Electrónica. Deberá especificar cuál de estos derechos solicita sea satisfecho y, a su vez, deberá acompañarse dicho escrito de la fotocopia del DNI o documento identificativo equivalente. En caso de que actuara mediante representante, legal o voluntario, deberá aportar también documento que acredite la representación y documento identificativo del mismo.
		Asimismo, en caso de considerar vulnerado su derecho a la protección de datos personales, podrá interponer una reclamación ante la Agencia Española de Protección de Datos (www.aepd.es).

Recuerde que debe firmar previamente este documento para poder realizar el tratamiento