



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/678785/2022
EMA/H/C/004750

Zolgensma (*onasemnogeneeniabeparvovekki*)

Yleistiedot Zolgensma-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Zolgensma on ja mihin sitä käytetään?

Zolgensma on geeniterapiassa käytettävä lääke, jolla hoidetaan spinaalista lihasatrofiaa. Se on vakava hermosairaus, joka aiheuttaa lihasten surkastumista ja heikkoutta.

Lääkevalmiste on tarkoitettu potilaille, joilla on periytyvä *SMN1*-geenin mutaatio ja joilla on diagnosoitu joko tyyppi 1 SMA (vakavin tyyppi) tai joilla on enintään kolme ns. *SMN2*-geenin kopiota.

Spinaalinen lihasatrofia on harvinainen sairaus, ja Zolgensma nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 19. kesäkuuta 2015. Lisää tietoa harvinaislääkkeistä löytyy täältä: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Zolgensman vaikuttava aine on onasemnogeneeniabeparvovekki.

Miten Zolgensmaa käytetään?

Zolgensma annetaan noin tunnin kestäväenä kertainfuusiona (tiputuksena) laskimoon. Infuusio on annettava terveydenhuollon yksiköissä tai sairaalassa spinaalisen lihasatrofian hoitoon perehtyneen lääkärin valvonnassa.

Potilaalle tehdään ennen infuusiota ja sen jälkeen useita kokeita, kuten maksa- ja verikokeita, ja hänelle annetaan kortikosteroidilääkkeitä haittavaikutusten riskin vähentämiseksi. Lääkevalmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Lisää tietoa Zolgensman käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Zolgensma vaikuttaa?

Spinaalista lihasatrofiaa sairastavien potilaiden *SMN1*-geenissä on virhe. Elimistö tarvitsee kyseistä geeniä tuottamaan proteiinia, joka on välttämätön lihasten liikkeitä säätelevien hermosolujen normaalille toiminnalle. Zolgensman vaikuttava aine onasemnogeneeniabeparvovekki sisältää kyseisen geenin toimivan kopion. Injektoitaessa geenin kopio siirtyy hermosoluihin, jolloin se toimii niissä virheettömän geenin tavoin. Tällöin elimistö pystyy valmistamaan riittävästi proteiinia ja palauttamaan siten hermosolujen toiminnan.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Mitä hyötyä Zolgensmasta on havaittu tutkimuksissa?

Päätutkimus osoitti, että lääkevalmiste vähentää keinotekoisien ventilaation tarvetta spinaalista lihasatrofiaa sairastavilla vauvoilla. Tutkimuksen yhteydessä Zolgensmaa saaneista 22 vauvasta 20 oli elossa ja hengitti ilman pysyvää hengityslaitetta 14 kuukauden kuluttua. Hoitamattomista potilaista tavallisesti vain neljäsosa jää eloon ilman, että tarvitsee hengityslaitetta.

Tutkimus osoitti myös, että Zolgensma voi auttaa vauvoja istumaan itsenäisesti vähintään 30 sekunnin ajan. Lääkevalmistetta saaneista 22 vauvasta 14 kykeni tähän 18 kuukauden kuluttua. Spinaalisen lihasatrofian vakavaa muotoa sairastavat hoitamattomat vauvat eivät ole koskaan saavuttaneet tätä kehitystasoa.

Mitä riskejä Zolgensmaan liittyy?

Zolgensman yleisimmät haittavaikutukset ovat maksaentsyymiarvojen kohoaminen, maksavaurio (maksatoksisuus), alhainen verihiutaleiden määrä (trombosytopenia), troponiinipitoisuuden kohoaminen (merkki sydänlihaskvauriosta), kuume ja oksentelu.

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Zolgensman rajoituksista ja haittavaikutuksista.

Miksi Zolgensma on hyväksytty EU:ssa?

Lääkevalmisteesta tehty päätutkimus osoitti, että kerta-infuusio voi parantaa potilaiden eloonjäämistä ja vähentää pysyvän hengityslaitteen tarvetta. Se voi myös auttaa heitä saavuttamaan kehitystasoja. Lääkevalmisteen haittavaikutuksia pidetään turvallisuuden kannalta hallittavina. Tutkimuksessa havaittu yleisin haittavaikutus, maksaentsyymiarvojen kohoaminen, edellytti steroidihoitoa. Näin ollen Euroopan lääkevirasto katsoi, että Zolgensman hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Zolgensmanille annettiin alun perin ehdollinen myyntilupa, koska lääkkeestä oli vasta tulossa lisää näyttöä. Koska yhtiö on toimittanut tarvittavat lisätiedot, ehdollinen myyntilupa on muutettu normaaliksi myyntiluvaksi.

Miten voidaan varmistaa Zolgensmanin turvallinen ja tehokas käyttö?

Zolgensmaa markkinoiva lääkeyhtiö laatii potilaista huolehtiville henkilöille suunnattua koulutusmateriaalia, jossa kerrotaan turvallisesta käytöstä, lääkkeeseen liittyvistä riskeistä sekä haittavaikutusten tunnistamisesta ja ilmoittamisesta. Yhtiö tekee myös tutkimuksen lääkkeen pitkän aikavälin turvallisuudesta ja tehosta.

Lääkevalmisteen turvallisen ja tehokkaan käytön varmistamiseksi myös valmisteyhteenvedon ja pakkausselosteeseen on sisällytetty suosituksia ja varoituksia terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden noudatettaviksi.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Zolgensman käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti, ja siitä ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja suoritetaan kaikki tarvittavat toimet potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Zolgensmasta

Zolgensma sai koko EU:n alueella voimassa olevan ehdollisen myyntiluvan 18. toukokuuta 2020. Ehdollinen lupa muutettiin 17. toukokuuta 2022 normaaliksi myyntiluvaksi.

Lisää tietoa Zolgensmasta on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zolgensma

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 08-2022.