



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zolgensma (*onasemnogene abeparvovec*)

En oversigt over Zolgensma, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Zolgensma, og hvad anvendes det til?

Zolgensma er et lægemiddel til genterapi til behandling af spinal muskelatrofi, som er en alvorlig nervelidelse, der medfører muskelsvind og -svækkelse.

Det er beregnet til patienter med nedarvede mutationer af et gen kaldet *SMN1*, og som enten er diagnosticeret med SMA type 1 (den alvorligste type) eller har op til tre kopier af et andet gen kaldet *SMN2*.

Spinal muskelatrofi er sjælden, og Zolgensma blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 19. juni 2015. Yderligere information om lægemidler til sjældne sygdomme kan findes her: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Zolgensma indeholder det aktive stof onasemnogene abeparvovec.

Hvordan anvendes Zolgensma?

Zolgensma gives som en infusion (drop) i en vene over ca. 1 time. Infusionen bør finde sted på en klinik eller et hospital under opsyn af en læge, der har erfaring med håndtering af spinal muskelatrofi.

Før og efter infusionen skal patienten have taget en række prøver, herunder lever- og blodprøver, og have kortikosteroidholdige lægemidler for at mindske risikoen for bivirkninger. Lægemidlet fås kun på recept. Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Zolgensma, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Zolgensma?

Patienter med spinal muskelatrofi har en defekt i *SMN1*-genet, som kroppen skal bruge for at danne et protein, der er afgørende for, at de nerver, der kontrollerer muskelbevægelserne, fungerer korrekt. Det aktive stof i Zolgensma, onasemnogene abeparvovec, indeholder en funktionsdygtig kopi af dette gen. Når det injiceres, går det ind i nerverne, hvorfra det tilfører det korrekte gen til at danne en tilstrækkelig mængde af proteinet og dermed genoprette nervefunktionen.

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



Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Zolgensma?

Et hovedstudie viste, at Zolgensma nedsætter behovet for kunstig ventilation hos spædbørn med spinal muskelatrofi. I dette studie var 20 ud af de 22 spædbørn, der fik Zolgensma, levende og trak vejret uden permanent ventilation efter 14 måneder, hvor kun en fjerdedel af ubehandlede patienter normalt ville overleve uden ventilation.

Studiet viste også, at Zolgensma kan hjælpe spædbørn med at sidde uden støtte i mindst 30 sekunder. 14 ud af de 22 spædbørn, der fik Zolgensma, kunne gøre dette efter 18 måneder — en milepæl, som aldrig er nået blandt ubehandlede spædbørn med svære former af sygdommen.

Hvilke risici er der forbundet med Zolgensma?

De hyppigste bivirkninger ved Zolgensma er forhøjede leverenzymmer, leverskade (hepatotoksicitet), lavt antal blodplader (trombocytopeni), forhøjet troponinniveau (et mål, der indikerer beskadigelse af hjertemusklens), feber og opkastning.

Den fuldstændige liste over begrænsninger og bivirkninger ved Zolgensma fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor er Zolgensma godkendt i EU?

Hovedstudiet viste, at en engangsinfusion af Zolgensma kan forbedre overlevelsen hos disse patienter og reducere behovet for permanent ventilation for at trække vejret. Det kan også hjælpe dem med at nå udviklingsmæssige milepæle. Hvad angår sikkerheden, anses bivirkningerne ved Zolgensma for at kunne håndteres. Den hyppigste bivirkning i studiet, stigninger i leverenzymmer, krævede behandling med et steroid. Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Zolgensma opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Der blev oprindeligt udstedt en "betinget godkendelse" for Zolgensma, fordi der afventedes yderligere dokumentation om lægemidlet. Da virksomheden har indsendt de fornødne supplerende oplysninger, er godkendelsen ændret fra en betinget til en fulgyldig godkendelse.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Zolgensma?

Virksomheden, der markedsfører Zolgensma, skal udarbejde informationsmateriale til omsorgsgivere med information om, hvordan lægemidlet anvendes sikkert, hvilke risici der er forbundet med lægemidlet, og hvordan bivirkninger identificeres og indberettes. Virksomheden skal også gennemføre en undersøgelse af lægemidlets sikkerhed og virkning på lang sigt.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Zolgensma.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende brugen af Zolgensma løbende overvåget. De indberettede bivirkninger ved Zolgensma vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Andre oplysninger om Zolgensma

Zolgensma fik en betinget markedsføringstilladelse med gyldighed i hele EU den 18. maj 2020. Den blev ændret til en fulgyldig markedsføringstilladelse den 17. maj 2022.

Yderligere information om Zolgensma findes på agenturets websted under:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zolgensma

Denne oversigt blev sidst ajourført i 08-2022.