



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zolgensma (onasemnogeen-abeparvovek)

Ülevaade ravimist Zolgensma ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Zolgensma ja milleks seda kasutatakse?

Zolgensma on geeniteraapia ravim, mida kasutatakse spinaalse lihastroofia raviks. See on närve haarav raske seisund, mis põhjustab lihaste kõhnumist ja nõrkust.

Zolgensma on näidustatud patsientidele, kellel on geeni *SMN1* pärilikud mutatsioonid ja kellel on diagnoositud spinaalse lihastroofia 1. tüübi (raskeim tüüp) või kuni 3 geeni *SMN2* koopiat.

Spinaalne lihastroofia esineb harva ja Zolgensma nimetati 19. juunil 2015 harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetatud ravimi kohta on leitav: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Zolgensma sisaldab toimeainet onasemnogeen-abeparvovek.

Kuidas Zolgensmat kasutatakse?

Zolgensmat manustatakse ühekordse veeniinfusioonina ligikaudu 1 tunni jooksul. Infusioon peab toimuma kliinikus või haiglas spinaalse lihastroofia ravis kogenud arsti järelevalve all.

Enne ja pärast infusiooni tehakse patsiendile mitu uuringut (sh maksa- ja vereanalüüsid) ning talle antakse kortikosteroidravimeid, et vähendada kõrvalnähtude riski. Zolgensma on retseptiravim. Lisateavet Zolgensma kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

Kuidas Zolgensma toimib?

Spinaalse lihastroofiaga patsientidel on defekt geeni *SMN1*, mida organism vajab lihaste liigutusi reguleerivate närvidel normaalse talitluse jaoks vajaliku valgu tootmiseks. Zolgensma toimeaine onasemnogeen-abeparvovek sisaldab selle geeni toimivat koopiat. Süstimisel liigub see närvidesse, kuhu viib õige geeni, et toota piisavalt valku ja seega taastada närvitalitus.

Milles seisneb uuringute põhjal Zolgensma kasulikkus?

Ühes põhiuuringus tõendati, et Zolgensma vähendab kopsude kunstliku ventilatsiooni vajadust spinaalse lihastroofiaga imikutel. Uuringus oli pärast 14 kuud elus ja hingasid ilma alalise

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



ventilaatorita 20 imikut 22st, kellele anti Zolgensmat, samas jääb tavaliselt ellu ega vaja ventilaatorit ainult veerand ravimata patsientidest.

Uuringus tõendati ka, et Zolgensma võib aidata imikutel istuda ilma abita vähemalt 30 sekundit. 14 imikut 22st, kellele anti Zolgensmat, suutsid abita istuda 18 kuu pärast. See vahe-eesmärk on haiguse raskete vormidega imikutel jäänud alati saavutamata.

Mis riskid Zolgensmaga kaasnevad?

Zolgensma kõige sagedamad kõrvalnähtud on maksaensüümide sisalduse suurenemine, maksakahjustus (maksatoksilisus), trombotsüütide sisalduse vähenemine (trombotsütopeenia), troponiinisalduse suurenemine (näitab südamelihase kahjustust), palavik ja oksendamine.

Zolgensma kohta teatatud piirangute ja kõrvalnähtude täielik loetelu on pakendi infolehel.

Miks Zolgensma ELis heaks kiideti?

Zolgensma põhiuuring tõendas, et ühekordne infusioon võib parandada nende patsientide elumust ja vähendada alalise ventilaatori vajadust hingamiseks. Samuti võib see aidata saavutada arengutähiseid. Ohutuse seisukohast peetakse Zolgensma kõrvalnähte hallatavaks; uuringus kõige sagedamini esinenud kõrvalnäht, maksaensüümide sisalduse suurenemine, möödus pärast ravi steroidiga. Seetõttu otsustas Euroopa Raviamet, et Zolgensma kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Zolgensma müügiluba anti esialgu tingimuslikult, sest selle ravimi toetuseks oodati täiendavaid andmeid. Et ettevõtte esitas vajaliku lisateabe, muudeti tingimuslik müügiluba tavaliseks müügiloaks.

Mis meetmed võetakse, et tagada Zolgensma ohutu ja efektiivne kasutamine?

Zolgensma turustaja annab hooldajatele teabematerjalid, milles selgitatakse ravimi ohutut kasutamist, ravimiga seotud riske ning kõrvalnähtude tuvastamist ja neist teatamist. Ettevõtte teeb ka ravimi pikaajalise ohutuse ja efektiivsuse uuringu.

Zolgensma ohutu ja efektiivse kasutamise soovitused ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on samuti lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite puhul, tehakse Zolgensma kasutamise kohta pidevat järelevalvet. Zolgensma kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Zolgensma kohta

Zolgensma on saanud müügiloa tingimusliku heakskiidu alusel, mis kehtib kogu ELis, 18. mail 2020. Tingimuslik müügiluba muudeti tavaliseks müügiloaks 17. mail 2022.

Lisateave Zolgensma kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zolgensma

Kokkuvõtte viimane uuendus: 08.2022