



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zolgensma (*onasemnogene abeparvovec*)

Aperçu de Zolgensma et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce que Zolgensma et dans quel cas est-il utilisé?

Zolgensma est un médicament de thérapie génique pour le traitement de l'amyotrophie spinale (SMA), une affection grave des nerfs qui provoque une atrophie et une faiblesse musculaires.

Il est indiqué chez les patients présentant des mutations héréditaires du gène *SMN1*, qui ont été diagnostiqués comme étant atteints de SMA de type 1 (le type le plus grave) ou qui sont porteurs de jusqu'à trois copies d'un autre gène connu, le gène *SMN2*.

L'amyotrophie spinale est rare et Zolgensma a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 19 juin 2015. De plus amples informations sur les désignations de médicaments orphelins peuvent être trouvées ci-après: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Zolgensma contient la substance active onasemnogene abeparvovec.

Comment Zolgensma est-il utilisé?

Zolgensma est administré une fois en une perfusion (goutte-à-goutte) dans une veine pendant environ 1 heure. La perfusion doit être administrée dans une clinique ou dans un hôpital sous la supervision d'un médecin expérimenté dans la prise en charge de l'amyotrophie spinale.

Avant et après avoir reçu la perfusion, le patient subit un certain nombre d'exams, y compris des tests hépatiques et sanguins, et se voit administrer des corticostéroïdes pour réduire le risque d'effets indésirables. Le médicament n'est délivré que sur ordonnance. Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Zolgensma, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.

Comment Zolgensma agit-il?

Les patients atteints d'amyotrophie spinale présentent une anomalie du gène *SMN1*, dont le corps a besoin pour produire une protéine essentielle au fonctionnement normal des nerfs qui contrôlent les mouvements musculaires. La substance active de Zolgensma, l'onasemnogene abeparvovec, contient une copie fonctionnelle de ce gène. Une fois injectée, elle passe dans les nerfs où elle apporte le gène

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



nécessaire à la production en quantité suffisante de la protéine et donc au rétablissement de la fonction nerveuse.

Quels sont les bénéfices de Zolgensma démontrés au cours des études?

Une étude principale a montré que Zolgensma réduit la nécessité de recourir à la ventilation artificielle chez les bébés atteints d'amyotrophie spinale. Dans cette étude, 20 bébés sur 22 sous Zolgensma étaient vivants et respiraient sans ventilation permanente après 14 mois, alors qu'en temps normal, un quart seulement des patients non traités survivent sans ventilation.

L'étude a également montré que Zolgensma peut aider les bébés à rester assis sans assistance pendant au moins 30 secondes. Quatorze des 22 bébés sous Zolgensma en étaient capables après 18 mois; cette étape importante n'est jamais franchie chez les bébés non traités atteints de formes graves de la maladie.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Zolgensma?

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Zolgensma sont les suivants: augmentation des enzymes hépatiques, lésions hépatiques (hépatotoxicité), faibles taux de plaquettes sanguines (thrombopénie), augmentation des taux de troponine (une mesure qui indique des lésions au niveau du muscle cardiaque), fièvre et vomissements.

Pour une liste complète des restrictions et des effets indésirables observés sous Zolgensma, voir la notice.

Pourquoi Zolgensma est-il autorisé dans l'UE?

La principale étude portant sur Zolgensma a montré qu'une perfusion unique peut améliorer la survie des patients et réduire la nécessité de recourir à une ventilation permanente pour respirer. Le médicament peut aussi aider ces patients à franchir des étapes importantes du développement. En ce qui concerne la sécurité, les effets indésirables de Zolgensma sont considérés comme étant gérables; l'effet indésirable le plus couramment observé dans l'étude, à savoir l'augmentation des taux d'enzymes hépatiques, a nécessité un traitement par un stéroïde. L'Agence européenne des médicaments a donc estimé que les bénéfices de Zolgensma sont supérieurs à ses risques et a autorisé l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE.

Une «autorisation conditionnelle» a été initialement délivrée pour Zolgensma, étant donné que des preuves supplémentaires étaient attendues pour ce médicament. La société ayant fourni les informations supplémentaires requises, l'autorisation de mise sur le marché «conditionnelle» a été requalifiée en autorisation de mise sur le marché «complète».

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Zolgensma?

La société qui commercialise Zolgensma fournira aux soignants du matériel éducatif contenant des informations sur la manière d'utiliser le médicament en toute sécurité, sur les risques associés à son utilisation et sur la manière d'identifier et de signaler les effets indésirables. Elle réalisera également une étude de la sécurité et de l'efficacité du médicament à long terme.

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Zolgensma ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Zolgensma sont surveillées en permanence. Les effets indésirables rapportés avec Zolgensma sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Zolgensma:

Une autorisation de mise sur le marché conditionnelle valide dans toute l'UE a été délivrée pour Zolgensma, le 18 mai 2020. Celle-ci a été requalifiée en autorisation de mise sur le marché complète le 17 mai 2022.

Des informations sur Zolgensma sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zolgensma

Dernière mise à jour du présent aperçu: 08-2022.