



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Zolgensma (*onaszemnogén abeparvovek*)

A Zolgensma-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

### **Milyen típusú gyógyszer a Zolgensma és milyen betegségek esetén alkalmazható?**

A Zolgensma egy génterápiás gyógyszer az idegek súlyos megbetegedése, a gerincizom atrófia kezelésére, amely izomsorvadást és izomgyengeséget okoz.

A gyógyszer olyan betegek számára javallott, akik az *SMN1* nevű gén öröklött mutációját mutatják, és akiknél 1-es típusú gerincizom atrófia (a legsúlyosabb típus) diagnózisát állították fel, vagy akik egy másik gén, az *SMN2* legfeljebb 3 kópiájával rendelkeznek.

Mivel a gerincizom atrófia ritkának minősül, ezért a Zolgensma-t 2015. június 19-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről itt található: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509).

A Zolgensma hatóanyagként onaszemnogén abeparvoveket tartalmaz.

### **Hogyan kell alkalmazni a Zolgensma-t?**

A Zolgensma-t körülbelül 1 órán át tartó, egyszeri vénás infúzióként, klinikai központban vagy kórházban, a gerincizom atrófia kezelésében tapasztalt szakorvos felügyelete mellett kell beadni.

Az infúzió beadása előtt és után a betegnek számos vizsgálaton, így máj- és vérérvizsgálaton kell átesnie, és a mellékhatások kockázatának csökkentésére kortikoszteroid gyógyszereket kell kapnia. A gyógyszer csak receptre kapható. A Zolgensma alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

### **Hogyan fejt ki hatását a Zolgensma?**

A gerincizom atrófiában szenvedő betegek esetében az izommozgást szabályozó, normálisan működő idegek számára nélkülözhetetlen fehérje előállításához szükséges *SMN1* nevű gén hibás. A Zolgensma hatóanyaga, az onaszemnogén abeparvovek e gén egy funkcionális másolatát tartalmazza. Befecskendezéskor bejut az idegekbe, ahol a megfelelő gént biztosítja a fehérje elegendő mennyiségének előállításához, és ezáltal helyreállítja az idegfunkciót.

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

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

An agency of the European Union



## **Milyen előnyei voltak a Zolgensma alkalmazásának a vizsgálatok során?**

Egy fő vizsgálat kimutatta, hogy a Zolgensma csökkenti a mesterséges lélegeztetés szükségességét a gerincizom atrófiában szenvedő kisgyermekeknél. Ebben a vizsgálatban 14 hónap elteltével a Zolgensma-t kapó 22 kisgyermek közül 20 életben volt és állandó lélegeztetés nélkül lélegzett. A nem kezelt betegeknek általában csak egynegyede marad életben lélegeztetőgép nélkül.

A vizsgálat azt is kimutatta, hogy a Zolgensma hatására a kisgyermek legalább 30 másodpercig tudnak segítség nélkül ülni. 18 hónap után a Zolgensma-val kezelt 22 kisgyermek közül 14 meg tudta ezt tenni, ami olyan mérföldkőnek számít, amit soha nem sikerült elérni a betegség súlyos formáit mutató, nem kezelt csecsemőnél.

## **Milyen kockázatokkal jár a Zolgensma alkalmazása?**

A Zolgensma leggyakoribb mellékhatásai a megemelkedett májenzimsszintek, a májkárosodás (hepatotoxicitás), a vérlemezkék alacsony szintje (trombocitopénia), a troponin emelkedett szintje (a szívizom károsodását jelző mérőszám), láz és hányás.

A Zolgensma alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes korlátozás és mellékhatás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

## **Miért engedélyezték a Zolgensma forgalomba hozatalát az EU-ban?**

A Zolgensma-val végzett fő vizsgálat igazolta, hogy az egyszeri infúzió javíthatja a betegek túlélését és csökkentheti az állandó lélegeztetés szükségességét. A javulás mérföldköveinek elérésében is segíthet. Biztonságosságát tekintve a Zolgensma mellékhatásai kezelhetőnek minősülnek; a vizsgálatban megfigyelt leggyakoribb mellékhatás (a májenzimek megemelkedett szintje) szteroidos kezelés mellett megszűnt. Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Zolgensma alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

A Zolgensma-t eredetileg „feltételes forgalombahozatali engedéllyel” engedélyezték, mivel a gyógyszerrel kapcsolatban további bizonyítékok voltak várhatóak. Mivel a vállalat benyújtotta a szükséges kiegészítő információkat, a forgalombahozatali engedélyt „feltételesről” „teljes érvényűre” módosították.

## **Milyen intézkedések vannak folyamatban a Zolgensma biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?**

A Zolgensma-t forgalmazó vállalat oktatóanyagokat fog biztosítani a gondozók számára, amelyben tájékoztatást nyújt a gyógyszer biztonságos alkalmazásáról, a gyógyszerrel kapcsolatos kockázatokról, valamint a mellékhatások azonosításának és jelentésének módjáról. A vállalat hosszú távon a gyógyszer biztonságosságára és hatásosságára vonatkozó vizsgálatot is el fog végezni.

A Zolgensma biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Zolgensma alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Zolgensma alkalmazásával összefüggésben jelentett mellékhatásokat gondosan értékeli és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

## **A Zolgensma-val kapcsolatos egyéb információ**

2020. május 18-án a Zolgensma az Európai Unió egész területére érvényes feltételes forgalomba hozatali engedélyt kapott. A feltételes engedély 2022. május 17-én vált teljes érvényű forgalombahozatali engedéllyé.

A Zolgensma-val kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zolgensma](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zolgensma)

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 08-2022.