



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zolgensma (*onasemnogenas abeparvovekas*)

Zolgensma apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje

Kas yra Zolgensma ir kam jis vartojamas?

Zolgensma yra genų terapijos vaistas, kuriuo gydoma spinalinė raumenų atrofija (SRA) – sunki nervų liga, sukianti raumenų nykimą ir silpnumą.

Jis skirtas pacientams, kurie turi paveldėtų geno *SMN1* mutacijų ir kuriems diagnozuota I (sunkiausio) tipo SRA arba iki 3 geno *SMN2* kopijų.

Spinalinė raumenų atrofija laikoma reta, todėl 2015 m. birželio 19 d. Zolgensma buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams rasite čia: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Zolgensma sudėtyje yra veikliosios medžiagos onasemnogeno abeparvoveko.

Kaip vartoti Zolgensma?

Zolgensma vartojamas į veną, atliekant maždaug 1 valandos trukmės infuziją. Infuzija turi būti atliekama klinikoje arba ligoninėje, prižiūrint gydytojui, turinčiam spinalinės raumenų atrofijos gydymo patirties.

Prieš infuziją ir po jos pacientui bus atlikti keli tyrimai, įskaitant kepenų ir kraujo tyrimus, ir skiriama kortikosteroidų šalutinio poveikio rizikai sumažinti. Vaisto galima įsigyti tik pateikus receptą. Daugiau informacijos apie Zolgensma vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Zolgensma?

Spinaline raumenų atrofija sergantys pacientai turi geno *SMN1* defektą. Šis genas organizme leidžia gaminti baltymą, būtiną normaliai nervų, kontroliuojančių raumenų judesius, funkcijai palaikyti. Veikliosios Zolgensma medžiagos onasemnogeno abeparvoveko sudėtyje yra šio geno funkcinė kopija. Sušvirkšta ji patenka į nervus ir virsta tinkamu genu, leidžiančiu pagaminti pakankamai baltymo ir taip atkurti nervų funkciją.

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



Kokia Zolgensma nauda nustatyta tyrimų metu?

Pagrindinis tyrimas parodė, kad Zolgensma spinaline raumenų atrofija sergantiems kūdikiams mažina dirbtinės plaučių ventilacijos poreikį. Šiame tyrime po 14 mėnesių 20 iš 22 Zolgensma vartojusių kūdikių buvo gyvi ir kvėpavo neprijungti prie nuolatinio plaučių ventilatoriaus, nors paprastai be ventilatoriaus išgyventų tik ketvirtadalis negydytų pacientų.

Tyrimas taip pat parodė, kad Zolgensma gali padėti kūdikiams savarankiškai išsėdėti bent 30 sekundžių. Po 18 mėnesių tiek laiko savarankiškai sėdėti pajėgė 14 iš 22 Zolgensma gydytų kūdikių, o negydyti sunkia liga sergantys kūdikiai tokio rezultato niekada nepasiekė.

Kokia rizika susijusi su Zolgensma vartojimu?

Dažniausias Zolgensma šalutinis poveikis yra padidėjęs kepenų fermentų kiekis, kepenų pažeidimas (hepatotoksiškumas), sumažėjęs trombocitų kiekis kraujyje (trombocitopenija), padidėjęs troponino kiekis (rodiklis, rodantis širdies raumens pažeidimą), karščiavimas ir vėmimas.

Išsamų Zolgensma vartojimo apribojimų ir šalutinio poveikio reiškinių sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Kodėl Zolgensma buvo registruotas ES?

Pagrindinis Zolgensma tyrimas parodė, kad vienkartinė infuzija gali pailginti šių pacientų išgyvenimo trukmę ir sumažinti nuolatinio plaučių ventilavimo, padedančio kvėpuoti, poreikį. Ji taip pat gali padėti pacientams pasiekti pagrindinius raišius. Dėl Zolgensma saugumo laikytasi nuomonės, kad šalutinį poveikį galima kontroliuoti; pasireiškus dažniausiai tyrime pastebėtam šalutiniam poveikiui, padidėjusiam kepenų fermentų kiekiui, reikėjo taikyti gydymą steroidiniu vaistu. Todėl Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Zolgensma nauda yra didesnė už keliamą riziką, ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Iš pradžių Zolgensma registracija buvo sąlyginė, kadangi apie šį vaistą turėjo būti pateikta daugiau duomenų. Bendrovei pateikus reikalingą papildomą informaciją, sąlyginė registracija buvo pakeista į įprastinę.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Zolgensma vartojimą?

Zolgensma prekiaujanti bendrovė slaugytojams pateiks mokomąją medžiagą su informacija, kaip saugiai vartoti vaistą, kokia rizika siejama su vaistu ir kaip nustatyti šalutinį poveikį ir apie jį pranešti. Ji taip pat atliks ilgalaikio vaisto saugumo ir veiksmingumo tyrimą.

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį taip pat įtrauktos saugaus ir veiksmingo Zolgensma vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Zolgensma vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Zolgensma šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Zolgensma

Zolgensma buvo registruotas sąlyginiu būdu visoje ES 2020 m. gegužės 18 d. Sąlyginė registracija pakeista į įprastinę 2022 m. gegužės 17 d.

Daugiau informacijos apie Zolgensma rasite Agentūros tinklalapyje adresu:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zolgensma

Ši santrauka paskutinį kartą atnaujinta 2022-08.