



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zolgensma (*onasemnogen abeparwovek*)

Przegląd wiedzy na temat leku Zolgensma i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Zolgensma i w jakim celu się go stosuje

Zolgensma jest lekiem terapii genowej do leczenia rdzeniowego zaniku mięśni (ang. spinal muscular atrophy, SMA), ciężkiej choroby nerwów powodującej zanikanie i osłabienie mięśni.

Lek jest przeznaczony dla pacjentów z odziedziczonymi mutacjami mającymi wpływ na gen o nazwie *SMN1*, u których zdiagnozowano SMA typu 1 (najpoważniejszy typ) lub którzy mają do 3 kopii innego genu o nazwie *SMN2*.

Ze względu na to, że rdzeniowy zanik mięśni uznano za chorobę rzadko występującą, w dniu 19 czerwca 2015 r. lek Zolgensma uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocego można znaleźć tutaj: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Substancją czynną zawartą w leku Zolgensma jest onasemnogen abeparwovek.

Jak stosować lek Zolgensma

Lek Zolgensma podaje się jednorazowo we wlewie dożylnym trwającym ok. 1 godziny. Wlew powinien odbywać się w ośrodku klinicznym lub szpitalu pod nadzorem lekarza z doświadczeniem w leczeniu rdzeniowego zaniku mięśni.

Przed wlewem i po jego otrzymaniu pacjent przejdzie szereg badań, w tym badania wątroby i krwi, i otrzyma leki kortykosteroidowe w celu zmniejszenia ryzyka działań niepożądanych. Lek wydawany na receptę. Więcej informacji o sposobie stosowania leku Zolgensma znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Zolgensma

Pacjenci z rdzeniowym zanikiem mięśni mają wadę w genie o nazwie *SMN1*, którego organizm potrzebuje do wytwarzania białka istotnego dla normalnego funkcjonowania nerwów kontrolujących ruchy mięśni. Substancja czynna leku Zolgensma, onasemnogen abeparwovek, zawiera funkcjonalną kopię tego genu. Po jej wstrzyknięciu wnika ona w nerwy, gdzie umożliwia właściwemu genowi wyprodukowanie wystarczającej ilości białka, a tym samym przywrócenie funkcji nerwów.

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



Korzyści ze stosowania leku Zolgensma wykazane w badaniach

W badaniu głównym wykazano, że lek Zolgensma ogranicza potrzebę sztucznej wentylacji u niemowląt cierpiących na rdzeniowy zanik mięśni. W badaniu tym 20 z 22 niemowląt, którym podano lek Zolgensma, żyło i oddychało bez stałego wentylatora po 14 miesiącach, podczas gdy zazwyczaj tylko jedna czwarta nieleczonych pacjentów przeżyłaby bez konieczności stosowania wentylatora.

W badaniu wykazano również, że lek Zolgensma może pomóc niemowlętom w siedzeniu bez pomocy przez co najmniej 30 sekund. 14 z 22 niemowląt, którym podano lek Zolgensma, było w stanie uczynić to po 18 miesiącach, co stanowi kluczowy etap nigdy nieosiągalny w przypadku nieleczonych niemowląt z ciężkimi postaciami choroby.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Zolgensma

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Zolgensma to: podwyższone stężenie enzymów wątrobowych, uszkodzenie wątroby (hepatotoksyczność), niski poziom płytek krwi (małopłytkowość), podwyższone stężenie troponiny (miara, która wskazuje na uszkodzenie mięśnia sercowego), gorączka i wymioty.

Pełny wykaz ograniczeń i działań niepożądanych związanych ze stosowaniem leku Zolgensma znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Zolgensma w UE

W badaniu głównym leku Zolgensma wykazano, że jednorazowy wlew może poprawić przeżywalność tych pacjentów i zmniejszyć zapotrzebowanie na stały wentylator do wspomagania oddychania. Może również pomóc im w osiągnięciu kluczowych etapów rozwojowych. Co do bezpieczeństwa stosowania działania niepożądane leku Zolgensma uznano za możliwe do kontrolowania; najbardziej powszechne działanie niepożądane w badaniu – podwyższone stężenie enzymów wątrobowych – ustąpiło po zastosowaniu leku sterydowego. Europejska Agencja Leków (EMA) uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Zolgensma przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Pierwotnie lek Zolgensma otrzymał warunkowe dopuszczenie do obrotu, gdyż spodziewano się, że będą gromadzone dodatkowe informacje na temat tego leku. Jako że firma dostarczyła dodatkowe wymagane informacje, pozwolenie zmieniono z warunkowego na pełne.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Zolgensma

Firma, która wprowadza lek Zolgensma do obrotu, dostarczy materiały edukacyjne dla opiekunów zawierające informacje na temat bezpiecznego stosowania leku, zagrożeń związanych z lekiem oraz sposobów identyfikacji i zgłaszania działań niepożądanych. Firma przeprowadzi również badanie dotyczące bezpieczeństwa stosowania i skuteczności leku w perspektywie długoterminowej.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Zolgensma w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane na temat stosowania leku Zolgensma są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Zolgensma są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Zolgensma

Lek Zolgensma otrzymał warunkowe pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia 18 maja 2020 r. W dniu 17 maja 2022 r. pozwolenie warunkowe zmieniono na pełne pozwolenie na dopuszczenie do obrotu.

Dalsze informacje na temat leku Zolgensma znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zolgensma

Data ostatniej aktualizacji: 08.2022.