



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Zolgensma (*onasemnogene abeparvovec*)

Um resumo sobre Zolgensma e porque está autorizado na UE

### O que é Zolgensma e para que é utilizado?

Zolgensma é um medicamento de terapia genética para o tratamento da atrofia muscular espinal (AME), uma doença grave dos nervos que provoca atrofia e fraqueza muscular.

Destina-se a doentes com mutações hereditárias que afetam um gene conhecido por *SMN1*, que tenham sido diagnosticados com AME de Tipo 1 (tipo mais grave) ou que tenham até 3 cópias de outro gene denominado *SMN2*.

A atrofia muscular espinal é uma doença rara, e Zolgensma foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) a 19 de junho de 2015. Mais informações sobre a designação órfã podem ser encontradas aqui: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509).

Zolgensma contém a substância ativa onasemnogene abeparvovec.

### Como se utiliza Zolgensma?

Zolgensma é administrado por perfusão (gota a gota) numa veia, com a duração aproximada de 1 hora. A perfusão deve ser realizada numa clínica ou num hospital sob a supervisão de um médico com experiência na gestão da atrofia muscular espinal.

Antes e depois de receber a perfusão, o doente fará uma série de análises, incluindo análises ao fígado e ao sangue, e receberá medicamentos corticosteroides para reduzir o risco de efeitos secundários. O medicamento só pode ser obtido mediante receita médica. Para mais informações sobre a utilização de Zolgensma, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

### Como funciona Zolgensma?

Os doentes com atrofia muscular espinal apresentam um defeito num gene conhecido por *SMN1*, do qual o organismo necessita para produzir uma proteína essencial para o funcionamento normal dos nervos que controlam os movimentos musculares. A substância ativa em Zolgensma, onasemnogene abeparvovec, contém uma cópia funcional deste gene. Quando injetada, passa para os nervos e a partir daí fornece o gene correto para produzir proteína em quantidade suficiente, repondo, assim, a função nervosa.

---

**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



## **Quais os benefícios demonstrados por Zolgensma durante os estudos?**

Um estudo principal demonstrou que Zolgensma reduz a necessidade de ventilação artificial em bebês com atrofia muscular espinal. Neste estudo, 20 dos 22 bebês que receberam Zolgensma estavam vivos e a respirar sem ventilador permanente após 14 meses, ao passo que, normalmente, apenas um quarto dos doentes não tratados sobrevive sem necessitar de ventilador.

O estudo demonstrou também que Zolgensma pode ajudar os bebês a ficarem sentados sem apoio durante, pelo menos, 30 segundos. Dos 22 bebês que receberam Zolgensma, 14 eram capazes de ficar sentados sem apoio após 18 meses, um marco que nunca foi atingido em bebês não tratados com formas graves de doença.

## **Quais são os riscos associados a Zolgensma?**

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Zolgensma são enzimas hepáticas aumentadas, lesões no fígado (hepatotoxicidade), níveis baixos de plaquetas sanguíneas (trombocitopenia), níveis elevados de troponina (uma medida que indica danos no músculo cardíaco), febre e vômitos.

Para a lista completa das restrições de utilização e dos efeitos secundários comunicados relativamente a Zolgensma, consulte o Folheto Informativo.

## **Porque está Zolgensma autorizado na UE?**

O estudo principal de Zolgensma demonstrou que uma perfusão única pode melhorar a sobrevivência nestes doentes e reduzir a necessidade de um ventilador permanente para respirar. Pode também ajudar os doentes a atingir os marcos de desenvolvimento. Em termos de segurança, os efeitos secundários de Zolgensma são considerados controláveis. O efeito secundário mais frequente no estudo, o aumento das enzimas produzidas pelo fígado, exigiu tratamento com um esteroide. Por conseguinte, a Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Zolgensma são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Foi inicialmente concedida a Zolgensma uma autorização condicional. Isto significa que se aguardavam dados adicionais sobre este medicamento. Dado a empresa ter apresentado a informação adicional necessária, a autorização passou de condicional a plena.

## **Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Zolgensma?**

A empresa que comercializa Zolgensma irá fornecer materiais informativos aos prestadores de cuidados com informações sobre a utilização segura do medicamento, os riscos associados ao medicamento e como identificar e comunicar efeitos secundários. Realizará igualmente um estudo sobre a segurança e a eficácia do medicamento a longo prazo.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram igualmente incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Zolgensma.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Zolgensma são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Zolgensma são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

## **Outras informações sobre Zolgensma**

A 18 de maio de 2020, Zolgensma recebeu uma Autorização de Introdução no Mercado condicional, válida para toda a UE. A 17 de maio de 2022, a autorização passou a autorização plena.

Mais informações sobre Zolgensma podem ser encontradas no sítio da internet da Agência:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zolgensma](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zolgensma)

Este resumo foi atualizado pela última vez em 08-2022.