



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zolgensma (*onasemnogen abeparvovec*)

Prezentare generală a Zolgensma și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Zolgensma și pentru ce se utilizează?

Zolgensma este un medicament pentru terapie genică utilizat pentru tratarea atrofiei musculare spinale, o boală gravă a nervilor care cauzează atrofierea mușchilor și slăbiciune musculară.

Este indicat la pacienți cu mutații ereditare care afectează o genă numită *SMN1* și care au fost diagnosticați cu atrofie musculară spinală (AMS) de tip 1 (forma cea mai gravă) sau au până la 3 copii ale altei gene, numite *SMN2*.

Atrofia musculară spinală este rară, iar Zolgensma a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 19 iunie 2015. Informații suplimentare cu privire la medicamentele desemnate orfane pot fi găsite aici: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Zolgensma conține substanța activă onasemnogen abatevovec.

Cum se utilizează Zolgensma?

Zolgensma se administrează în doză unică, sub formă de perfuzie (picurare în venă) timp de aproximativ 1 oră. Perfuzia trebuie administrată într-o clinică sau într-un spital, sub supravegherea unui medic cu experiență în gestionarea terapeutică a atrofiei musculare spinale.

Înainte și după administrarea perfuziei, pacientul va face o serie de teste, inclusiv analize hepatice și de sânge, și va primi corticosteroizi pentru a reduce riscul de reacții adverse. Medicamentul se poate obține numai pe bază de prescripție medicală. Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Zolgensma, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Zolgensma?

Pacienții cu atrofie musculară spinală prezintă un defect al genei numite *SMN1*, care este necesară organismului pentru a produce o proteină esențială pentru funcționarea normală a nervilor care controlează mișcările musculare. Substanța activă din Zolgensma, onasemnogen abeparvovecul, conține o copie funcțională a acestei gene. Când este injectată, aceasta trece în nervi unde produce

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



gena corectă necesară pentru a furniza o cantitate suficientă de proteină, restabilind astfel funcția nervoasă.

Ce beneficii a prezentat Zolgensma pe parcursul studiilor?

Un studiu principal a arătat că Zolgensma reduce nevoia de ventilație artificială la nou-născuți cu atrofie musculară spinală. În acest studiu, după 14 luni, 20 din cei 22 de nou-născuți cărora li s-a administrat Zolgensma au supraviețuit și au putut respira fără ventilație mecanică permanentă, deși, în mod normal, doar un sfert dintre pacienții netratați ar supraviețui fără a avea nevoie de ventilație mecanică.

De asemenea, studiul a arătat că Zolgensma poate ajuta nou-născuții să stea în șezut, fără ajutor, cel puțin 30 de secunde. Din cei 22 de nou-născuți cărora li s-a administrat Zolgensma, 14 au putut face acest lucru după 18 luni, un reper care nu este niciodată atins de nou-născuții netratați, cu forme severe ale bolii.

Care sunt riscurile asociate cu Zolgensma?

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Zolgensma sunt valori ridicate ale enzimelor hepatice, leziuni ale ficatului (hepatotoxicitate), număr mic de trombocite (trombocitopenie), valori ridicate ale troponinei (o măsură care indică leziuni ale mușchiului cardiac), febră și vărsături.

Pentru lista completă a restricțiilor și a reacțiilor adverse asociate cu Zolgensma, citiți prospectul.

De ce a fost autorizat Zolgensma în UE?

Studiul principal privind Zolgensma a arătat că o perfuzie administrată o singură dată poate îmbunătăți supraviețuirea la acești pacienți și poate reduce nevoia de ventilație mecanică permanentă pentru a respira. De asemenea, îi poate ajuta să atingă reperele de dezvoltare. În ceea ce privește siguranța, reacțiile adverse ale Zolgensma sunt considerate gestionabile terapeutic; cele mai frecvente reacții adverse din acest studiu, valori ridicate ale enzimelor hepatice, au necesitat tratament cu un steroid. Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Zolgensma sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Zolgensma a primit inițial „autorizare condiționată” deoarece se așteptau dovezi suplimentare despre acest medicament. Întrucât compania a furnizat informațiile suplimentare necesare, autorizația a fost transformată din autorizație condiționată în autorizație normală.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Zolgensma?

Compania care comercializează Zolgensma va furniza îngrijitorilor materiale educaționale care conțin informații privind modul de utilizare a medicamentului în condiții de siguranță, riscurile asociate medicamentului și modul de identificare și de raportare a reacțiilor adverse. De asemenea, compania va realiza un studiu privind siguranța și eficacitatea medicamentului pe termen lung.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Zolgensma, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Zolgensma sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse raportate pentru Zolgensma sunt evaluate cu atenție și sunt luate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Zolgensma

Zolgensma a primit autorizație de punere pe piață condiționată, valabilă pe întreg teritoriul UE, la 18 mai 2020. Aceasta a fost transformată în autorizație normală de punere pe piață la 17 mai 2022.

Informații suplimentare cu privire la Zolgensma sunt disponibile pe site-ul agenției:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zolgensma

Această prezentare generală a fost actualizată ultima dată în 08-2022.