



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Zolgensma (*onasemnogen abeparvovek*)

Sammanfattning av Zolgensma och varför det är godkänt inom EU

### Vad är Zolgensma och vad används det för?

Zolgensma är ett genterapiläkemedel för behandling av spinal muskelatrofi, en allvarlig nervsjukdom som orsakar muskelförtvining och muskelsvaghet.

Zolgensma är avsett för patienter som har nedärvda mutationer som påverkar genen *SMN1* och som antingen har diagnostiserats med spinal muskelatrofi typ 1 (den allvarligaste typen) eller har upp till 3 kopior av en annan gen som kallas *SMN2*.

Spinal muskelatrofi är sällsynt och Zolgensma klassificerades som säriläkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 19 juni 2015. Mer information om klassificeringen som säriläkemedel finns här: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509).

Zolgensma innehåller den aktiva substansen onasemnogen abeparvovek.

### Hur används Zolgensma?

Zolgensma ges som en infusion (dropp) i en ven under ungefär en timme. Infusionen ska äga rum på en klinik eller ett sjukhus under överinseende av en läkare med erfarenhet av att behandla spinal muskelatrofi.

Före och efter infusionen kommer patienten att få ta ett antal prover, inklusive lever- och blodprover, och patienten kommer att få kortikosteroidläkemedel för att minska risken för biverkningar. Läkemedlet är receptbelagt. För mer information om hur du använder Zolgensma, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

### Hur verkar Zolgensma?

Patienter med spinal muskelatrofi har en defekt i en gen som kallas *SMN1* och som kroppen behöver för att bilda ett protein som är viktigt för att de nerver som styr muskelrörelserna ska fungera normalt. Den aktiva substansen i Zolgensma, onasemnogen abeparvovek, innehåller en funktionell kopia av denna gen. När den injiceras går den in i nerverna, varifrån den framställer rätt gen för att producera tillräckligt med protein och därmed återställa nervfunktionen.

---

**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



## **Vilka fördelar med Zolgensma har visats i studierna?**

I en huvudstudie visades att Zolgensma minskar behovet av artificiell ventilation hos spädbarn med spinal muskelatrofi. Av de 22 spädbarn som fick Zolgensma levde och andades 20 utan permanent ventilator efter 14 månader i denna studie, när normalt sett endast en fjärdedel av de obehandlade patienterna överlever utan att de behöver en ventilator.

Studien visade också att Zolgensma kan hjälpa barnen att sitta utan stöd i minst 30 sekunder. Av de 22 spädbarn som fick Zolgensma kunde 14 göra det efter 18 månader, en milstolpe som aldrig uppnåtts hos obehandlade spädbarn med allvarliga former av sjukdomen.

## **Vilka är riskerna med Zolgensma?**

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Zolgensma är förhöjda leverenzymmer, leverskada (livertoxicitet), låga nivåer av blodplättar (trombocytopeni), förhöjda nivåer av troponin (ett mått som tyder på skada på hjärtmuskeln), feber och kräkningar.

En fullständig förteckning över restriktioner och biverkningar för Zolgensma finns i bipacksedeln.

## **Varför är Zolgensma godkänt i EU?**

Huvudstudien av Zolgensma visade att en engångsinfusion kan förbättra överlevnaden hos dessa patienter och minska behovet av en permanent ventilator för att andas. Den kan också hjälpa dem att nå stora förbättringar. Vad gäller Zolgensmas säkerhet anses dess biverkningar vara hanterbara. Den vanligaste biverkningen i studien, förhöjda leverenzymmer, upphörde efter behandling med en steroid. Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Zolgensma är större än riskerna och att Zolgensma kan godkännas för försäljning i EU.

Zolgensma fick ursprungligen ett villkorat godkännande eftersom fler uppgifter om läkemedlet skulle komma. Eftersom företaget har lämnat den ytterligare information som krävdes har godkännandet ändrats från villkorat till fullständigt godkännande.

## **Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Zolgensma?**

Företaget som marknadsför Zolgensma kommer att förse vårdare med utbildningsmaterial med information om hur läkemedlet används på ett säkert sätt, om riskerna med läkemedlet och om hur man identifierar och rapporterar biverkningar. Företaget kommer också att genomföra en studie av läkemedlets säkerhet och effekt på lång sikt.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Zolgensma har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Zolgensma kontinuerligt. Biverkningar som har rapporterats för Zolgensma utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

## **Mer information om Zolgensma**

Den 18 maj 2020 beviljades Zolgensma ett villkorat godkännande för försäljning som gäller i hela EU. Den 17 maj 2022 ändrades detta godkännande till ett fullständigt godkännande för försäljning.

Mer information om Zolgensma finns på EMA:s webbplats:

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zolgensma](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zolgensma)

Denna sammanfattning uppdaterades senast 08-2022.