



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zolgensma (*onasemnogene abeparvovec*)

Общ преглед на Zolgensma и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Zolgensma и за какво се използва?

Zolgensma е лекарство за генна терапия за лечение на спинална мускулна атрофия, тежко заболяване на нервите, което причинява загуба на мускулна маса и слабост.

Предназначено е за пациенти с наследени мутации, засягащи ген, известен като *SMN1*, които са диагностицирани със СМА от тип 1 (най-тежък) или имат до 3 копия на друг ген, известен като *SMN2*.

Мускулната атрофия се счита за рядко заболяване и Zolgensma е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 19 юни 2015 г. Допълнителна информация за лекарствата сираци можете да намерите тук: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Zolgensma съдържа активното вещество онасемноген абепарвовек (*onasemnogene abeparvovec*).

Как се използва Zolgensma?

Zolgensma се прилага като инфузия (вливане) във вена в продължение на около 1 час. Инфузията трябва да се извършва в клиника или болница под наблюдението на лекар с опит в овладяването на спинална мускулна атрофия.

Преди и след инфузията пациентът преминава няколко изследвания, включително чернодробни и кръвни тестове, и ще му бъде предписани кортикостероидни лекарства, за да се намали рискът от нежелани реакции. Лекарственият продукт се отпуска по лекарско предписание. За повече информация относно употребата на Zolgensma вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

Как действа Zolgensma?

Пациентите със спинална мускулна атрофия имат дефект в ген, познат като *SMN1*, с помощта на който организъмът произвежда протеин, необходим за нормалната функция на отговорните за мускулите нерви. Активното вещество в Zolgensma, онасемноген абепарвовек, съдържа функционално копие на този ген. Когато се инжектира, то прониква в нервите, откъдето

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



осигурява правилния ген, за да се произведе достатъчно от протеина, и по този начин да се възстанови нервната функция.

Какви ползи от Zolgensma са установени в проучванията?

Едно основно проучване показва, че Zolgensma намалява необходимостта от изкуствена вентилация при бебета със спинална мускулна атрофия. В това проучване 20 от общо 22 бебета, които са приемали Zolgensma, са живи и дишат без постоянна нужда от респиратор след 14 месеца, при условие че обикновено само една четвърт от нелекуваните пациенти оцеляват, без да се нуждаят от респиратор.

Проучването също така показва, че Zolgensma може да помогне на бебетата да седят без помощ в продължение на най-малко 30 секунди. 14 от общо 22 бебета, на които е бил приложен Zolgensma, са могли да направят това след 18 месеца — етап, който никога не се достига при нелекувани бебета с тежки форми на болестта.

Какви са рисковете, свързани със Zolgensma?

Най-честите нежелани реакции при Zolgensma са повишени чернодробни ензими, увреждане на черния дроб (хепатотоксичност), ниски нива на тромбоцитите в кръвта (тромбоцитопения), повишени нива на тропонин (мярка, която показва увреждане на сърдечния мускул), повишена температура и повръщане.

За пълния списък на ограниченията и нежеланите реакции при Zolgensma вижте листовката.

Защо Zolgensma е разрешен за употреба в ЕС?

Основното проучване на Zolgensma показва, че еднократна инфузия може да подобри преживяемостта при тези пациенти и да намали необходимостта от постоянен респиратор при дишане. Тя може също така да им помогне да постигнат етапните цели по отношение на развитието. По отношение на безопасността нежеланите реакции при Zolgensma се считат за управляеми; за най-честата нежелана реакция в изследването, повишени чернодробни ензими, се изисква лечение със стероид. Поради това Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от Zolgensma са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Първоначално Zolgensma е разрешен за употреба по т.нар. схема „разрешаване под условие“. Това означава, че се очакват допълнителни данни за лекарството. Тъй като фирмата е предоставила необходимата допълнителна информация, разрешението е променено от „условно“ на „безусловно“.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Zolgensma?

Фирмата, която предлага Zolgensma, ще предостави обучителни материали за болногледачите с информация как да се използва лекарството безопасно, какви са рисковете, свързани с него, и как да се идентифицират и съобщават нежелани реакции. Освен това тя ще проведе проучване на безопасността и ефективността на лекарството в дългосрочен план.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Zolgensma, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени също в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Zolgensma непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Zolgensma, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Zolgensma:

Zolgensma получава разрешение за употреба под условие, валидно в ЕС, на 18 май 2020 г. Разрешението става безусловно на 17 май 2022 г.

Допълнителна информация за Zolgensma можете да намерите на уебсайта на Агенцията:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zolgensma

Дата на последно актуализиране на текста 08-2022.