



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Zolgensma (*onasemnogenum abeparvovecum*)

Přehled pro přípravek Zolgensma a proč byl přípravek registrován v EU

### Co je přípravek Zolgensma a k čemu se používá?

Přípravek Zolgensma je přípravek pro genovou terapii k léčbě spinální svalové atrofie, což je závažné onemocnění nervů, které způsobuje úbytek svalstva a svalovou slabost.

Je určen pro pacienty s dědičnými mutacemi postihujícími geny označované jako *SMN1*, kterým byla buď diagnostikována spinální svalová atrofie 1. typu (nejzávažnější typ), nebo mají až tři kopie jiného genu známého jako *SMN2*.

Spinální svalová atrofie je vzácné onemocnění a přípravek Zolgensma byl označen dne 19. června 2015 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete zde: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509).

Přípravek Zolgensma obsahuje léčivou látku onasemnogen abeparvovek.

### Jak se přípravek Zolgensma používá?

Přípravek Zolgensma se podává jednorázově formou infuze (kapání) do žíly po dobu přibližně jedné hodiny. Infuze by měla být podána na klinice nebo v nemocnici pod dohledem lékaře se zkušenostmi s léčbou spinální svalové atrofie.

Před podáním infuze a po jejím ukončení se u pacienta provede řada testů, včetně testů jaterní funkce a krevních testů, a budou mu podány kortikosteroidy, aby se snížilo riziko nežádoucích účinků. Výdej léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis. Více informací o používání přípravku Zolgensma naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

### Jak přípravek Zolgensma působí?

Pacienti se spinální svalovou atrofií vykazují vadu genu známého jako *SMN1*, který tělo potřebuje k produkci bílkoviny nezbytné k normálnímu fungování nervů, jež ovládají pohyby svalů. Léčivá látka v přípravku Zolgensma, onasemnogen abeparvovek, obsahuje funkční kopii tohoto genu. Jakmile je injekčně podána, dochází k jejímu přenosu do nervů, odkud dodává správný gen, aby byla zajištěna dostatečná produkce potřebné bílkoviny a tím obnovena nervová funkce.

---

**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



## **Jaké přínosy přípravku Zolgensma byly prokázány v průběhu studií?**

Hlavní studie prokázala, že přípravek Zolgensma snižuje u malých dětí se spinální svalovou atrofií potřebu umělé ventilace. V této studii bylo po 14 měsících naživu a dýchalo bez trvalé ventilace 20 z 22 dětí, kterým byl podán přípravek Zolgensma, přičemž běžně by bez podpory ventilátoru přežila pouze čtvrtina neléčených pacientů.

Ze studie rovněž vyplynulo, že přípravek Zolgensma může malým dětem pomoci sedět bez opory po dobu nejméně 30 vteřin. Tohoto výsledku bylo dosaženo u 14 z 22 dětí, kterým byl podán přípravek Zolgensma, za 18 měsíců, což je milník, kterého u neléčených dětí s těžkou formou spinální svalové atrofie nelze nikdy dosáhnout.

## **Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Zolgensma?**

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Zolgensma jsou zvýšení hladiny jaterních enzymů, poškození jater (hepatotoxicita), nízké hladiny krevních destiček (trombocytopenie), zvýšené hladiny troponinu (ukazatel poškození srdečního svalu), horečka a zvracení.

Úplný seznam omezení a nežádoucích účinků přípravku Zolgensma je uveden v příbalové informaci.

## **Na základě čeho byl přípravek Zolgensma registrován v EU?**

Hlavní studie prokázala, že jednorázová infuze přípravku Zolgensma může u dětských pacientů zlepšit pravděpodobnost přežití a snížit potřebu trvalé ventilace k zajištění dýchání. Může jim rovněž pomoci dosáhnout milníků ve vývoji. Z hlediska bezpečnosti jsou nežádoucí účinky přípravku Zolgensma považovány za zvladatelné, přičemž nejčastěji pozorovaný nežádoucí účinek ve studii, zvýšení hladiny jaterních enzymů, vyžadoval léčbu steroidem. Evropská agentura pro léčivé přípravky proto rozhodla, že přínosy přípravku Zolgensma převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Přípravku Zolgensma byla původně udělena „podmíněná registrace“, protože se očekávaly další poznatky o tomto léčivém přípravku. Vzhledem k tomu, že společnost požadované doplňující informace předložila, byla registrace změněna z „podmíněné“ na „běžnou“.

## **Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Zolgensma?**

Společnost, která přípravek Zolgensma dodává na trh, poskytne pečovateli edukční materiály s informacemi o tom, jak léčivý přípravek bezpečně používat, o rizicích souvisejících s tímto léčivým přípravkem a o tom, jak rozpoznat a hlásit nežádoucí účinky. Provede rovněž studii bezpečnosti a účinnosti tohoto léčivého přípravku z dlouhodobého hlediska.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla rovněž zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Zolgensma, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Zolgensma průběžně sledovány. Nežádoucí účinky nahlášené v souvislosti s přípravkem Zolgensma jsou pečlivě hodnoceny a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

## **Další informace o přípravku Zolgensma**

Přípravku Zolgensma bylo uděleno podmíněné rozhodnutí o registraci platné v celé EU dne 18. května 2020. To bylo změněno na běžné rozhodnutí o registraci dne 17. května 2022.

Další informace o přípravku Zolgensma jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zolgensma](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zolgensma).

Tento přehled byl naposledy aktualizován v 08-2022.