



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/173982/2020
EMA/H/C/004750

Zolgensma (*Onasemnogen Abeparvovec*)

Übersicht über Zolgensma und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Zolgensma und wofür wird es angewendet?

Zolgensma ist ein Gentherapeutikum zur Behandlung der spinalen Muskelatrophie (SMA), einer schweren Erkrankung der Nerven, die Muskelschwund und Muskelschwäche verursacht.

Es ist für Patienten bestimmt, bei denen vererbte Mutationen Gene mit der Bezeichnung SMN1 beeinträchtigen und bei denen entweder SMA Typ 1 (die schwerste Form) diagnostiziert wurde oder die bis zu 3 Kopien eines anderen Gens mit der Bezeichnung SMN2 haben.

Spinale Muskelatrophie ist „selten“, und Zolgensma wurde am 19. Juni 2015 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zur Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden sich hier: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Zolgensma enthält den Wirkstoff Onasemnogen Abeparvovec.

Wie wird Zolgensma angewendet?

Zolgensma wird einmal als Tropfinfusion in eine Vene über etwa 1 Stunde verabreicht. Die Infusion sollte in einer Klinik oder einem Krankenhaus unter der Aufsicht eines in der Behandlung der spinalen Muskelatrophie erfahrenen Arztes erfolgen.

Vor und nach der Infusion werden beim Patienten einige Tests durchgeführt, u. a. Leber- und Bluttests, und er erhält Kortikosteroid-Arzneimittel zur Verringerung des Risikos von Nebenwirkungen. Das Arzneimittel ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich. Weitere Informationen zur Anwendung von Zolgensma entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Wie wirkt Zolgensma?

Patienten mit spinaler Muskelatrophie weisen einen Defekt in einem Gen mit der Bezeichnung *SMN1* auf. Der Körper benötigt dieses Gen zur Bildung eines Proteins, das für das normale Funktionieren von Nerven, die Muskelbewegungen steuern, unverzichtbar ist. Der Wirkstoff in Zolgensma, Onasemnogen Abeparvovec, enthält eine funktionstüchtige Kopie dieses Gens. Er geht bei der Injektion in die Nerven über, wo er das richtige Gen liefert, damit das Protein ausreichend gebildet und so die Nervenfunktion wiederhergestellt wird.

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



Welchen Nutzen hat Zolgensma in den Studien gezeigt?

Eine Hauptstudie ergab, dass Zolgensma die Notwendigkeit verringert, Säuglinge mit spinaler Muskelatrophie künstlich zu beatmen. Nach 14 Monaten lebten bei dieser Studie 20 von 22 Kindern, die Zolgensma erhielten, und atmeten ohne dauerhafte Beatmung, während normalerweise nur ein Viertel der unbehandelten Patienten überleben würde, ohne ein Beatmungsgerät zu benötigen.

Die Studie zeigte auch, dass Zolgensma Babys helfen kann, mindestens 30 Sekunden lang ohne Hilfe zu sitzen. 14 von 22 Kindern unter Zolgensma konnten dies nach 18 Monaten – ein Meilenstein, der bei unbehandelten Kindern mit schweren Formen der Krankheit nie erreicht wird.

Welche Risiken sind mit Zolgensma verbunden?

Sehr häufige Nebenwirkungen von Zolgensma (die mehr als 1 von 10 Behandelten betreffen können) sind erhöhte Leberenzyme und Erbrechen. Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Zolgensma berichteten Nebenwirkungen und Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Warum wurde Zolgensma in der EU zugelassen?

Die Hauptstudie mit Zolgensma zeigte, dass eine einmalige Infusion das Überleben der Patienten verbessern und die Notwendigkeit einer dauerhaften Beatmung verringern kann. Es kann ihnen auch helfen, Meilensteine in der Entwicklung zu erreichen.

Was die Sicherheit betrifft, so gelten die Nebenwirkungen von Zolgensma als beherrschbar; die Nebenwirkung, die bei der Studie sehr häufig auftrat – erhöhte Leberenzyme –, klang nach der Behandlung mit einem Steroid ab.

Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte daher zu dem Schluss, dass der Nutzen von Zolgensma gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

Zolgensma wurde unter „Besonderen Bedingungen“ zugelassen. Dies bedeutet, dass weitere Nachweise für das Arzneimittel erwartet werden, die das Unternehmen bereitstellen muss. Die Agentur wird jedes Jahr sämtliche neuen Informationen prüfen, die verfügbar werden, und die vorliegende Übersicht wird gegebenenfalls aktualisiert.

Welche Informationen werden für Zolgensma noch erwartet?

Da Zolgensma eine Zulassung unter „Besonderen Bedingungen“ erteilt wurde, wird das Unternehmen, das Zolgensma in Verkehr bringt, weitere Daten über seinen Nutzen und seine Risiken bereitstellen. Dazu gehören Daten aus zwei Studien mit Patienten im Alter von weniger als 6 Monaten mit SMA Typ I und eine Studie mit Patienten im Alter von weniger als 6 Wochen, die keine Symptome aufweisen, bei denen die Diagnose SMA jedoch anhand von Gentests bestätigt wird.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Zolgensma ergriffen?

Das Unternehmen, das Zolgensma in Verkehr bringt, wird eine Langzeitstudie über die Sicherheit und Wirksamkeit des Arzneimittels durchführen und Daten aus einer anderen Studie vorlegen, um die Konstanz der Chargen der Arzneimittel zu verbessern.

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Zolgensma, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden auch in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Zolgensma kontinuierlich überwacht. Gemeldete Nebenwirkungen von Zolgensma werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Zolgensma

Weitere Informationen zu Zolgensma finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:

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