



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/678785/2022
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 ein Gen 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 Sie hier: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Zolgensma enthält den Wirkstoff Onasemnogen Abeparvovec.

Wie wird Zolgensma angewendet?

Zolgensma wird ein Mal 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 sind erhöhte Leberenzymwerte, Leberschädigungen (Hepatotoxizität), niedrige Blutplättchenzahl (Thrombozytopenie), erhöhte Troponin-Spiegel (ein Maß, das auf eine Schädigung des Herzmuskels hinweist), Fieber 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 Leberenzymwerte –, erforderte eine Behandlung mit einem Steroid. 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 ursprünglich unter „Besonderen Bedingungen“ zugelassen, da weitere Nachweise für das Arzneimittel erwartet wurden. Da das Unternehmen die erforderlichen zusätzlichen Informationen vorgelegt hat, wurde die Einschränkung „unter Besonderen Bedingungen“ aufgehoben und in eine uneingeschränkte Genehmigung umgewandelt.

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

Das Unternehmen, das Zolgensma in Verkehr bringt, wird Betreuungspersonen Schulungsmaterialien mit Informationen zur sicheren Anwendung des Arzneimittels, zu den Risiken im Zusammenhang mit dem Arzneimittel und zur Identifizierung und Meldung von Nebenwirkungen bereitstellen. Darüber hinaus wird das Unternehmen eine Studie zur langfristigen Sicherheit und Wirksamkeit des Arzneimittels durchführen.

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

Zolgensma erhielt am 18. Mai 2020 eine Genehmigung unter „Besonderen Bedingungen“ für das Inverkehrbringen in der gesamten EU. Am 17. Mai 2022 wurde diese in eine uneingeschränkte Genehmigung umgewandelt.

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

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

Diese Übersicht wurde zuletzt im 08-2022 aktualisiert.