



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Zolgensma (*onasemnogene aberavonvec*)

Ανασκόπηση του Zolgensma και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

### Τι είναι το Zolgensma και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Zolgensma είναι φάρμακο γονιδιακής θεραπείας για τη θεραπεία της νωτιαίας μυϊκής ατροφίας, μιας σοβαρής πάθησης των νεύρων που προκαλεί μυϊκή ατροφία και αδυναμία.

Προορίζεται για τη θεραπεία ασθενών με κληρονομικές μεταλλάξεις σε ένα γονίδιο που είναι γνωστό με την ονομασία *SMN1*, οι οποίοι έχουν διαγνωστεί είτε με SMA τύπου 1 (ο πιο σοβαρός τύπος) είτε διαθέτουν έως και 3 αντίγραφα ενός άλλου γονιδίου γνωστού ως *SMN2*.

Η νωτιαία μυϊκή ατροφία είναι «σπάνια» και το Zolgensma χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες παθήσεις) στις 19 Ιουνίου 2015. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε εδώ: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509).

Το Zolgensma περιέχει τη δραστική ουσία *onasemnogene aberavonvec*.

### Πώς χρησιμοποιείται το Zolgensma;

Το Zolgensma χορηγείται ως εφάπαξ ενδοφλέβια έγχυση (στάγδην χορήγηση) διάρκειας περίπου 1 ώρας. Η έγχυση πρέπει να χορηγείται σε κλινική ή σε νοσοκομείο υπό την επίβλεψη γιατρού με εμπειρία στη διαχείριση της νωτιαίας μυϊκής ατροφίας.

Πριν και μετά την έγχυση, ο ασθενής θα υποβληθεί σε διάφορες εξετάσεις, μεταξύ άλλων σε εξετάσεις ήπατος και αίματος, και θα του χορηγηθούν κορτικοστεροειδή φάρμακα για τη μείωση του κινδύνου εμφάνισης ανεπιθύμητων ενεργειών. Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή. Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Zolgensma, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

### Πώς δρα το Zolgensma;

Οι ασθενείς με νωτιαία μυϊκή ατροφία παρουσιάζουν ελάττωμα σε ένα γονίδιο που είναι γνωστό ως *SMN1*, το οποίο χρειάζεται ο οργανισμός προκειμένου να είναι σε θέση να παράγει μια πρωτεΐνη που είναι απαραίτητη για την ομαλή λειτουργία των νεύρων που ελέγχουν τις κινήσεις των μυών. Η δραστική ουσία του Zolgensma, η *onasemnogene aberavonvec*, περιέχει ένα λειτουργικό αντίγραφο του γονιδίου αυτού. Όταν το φάρμακο εγχέεται, η ουσία εισέρχεται στα νεύρα παρέχοντας το σωστό

**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



γονίδιο. Κατ' αυτόν τον τρόπο ο οργανισμός έχει τη δυνατότητα να παράγει επαρκείς ποσότητες της πρωτεΐνης αυτής και η νευρική λειτουργία αποκαθίσταται.

## **Ποια είναι τα οφέλη του Zolgensma σύμφωνα με τις μελέτες;**

Από μια κύρια μελέτη προέκυψε ότι το Zolgensma μειώνει την ανάγκη για μηχανική αναπνευστική υποστήριξη σε βρέφη με νωτιαία μυϊκή ατροφία. Στο πλαίσιο της μελέτης αυτής, τα 20 από τα 22 βρέφη που έλαβαν Zolgensma επιβίωσαν και ανέπνεαν χωρίς τη βοήθεια μόνιμης αναπνευστικής μηχανικής υποστήριξης μετά από 14 μήνες, ενώ υπό άλλες συνθήκες μόνο το 25% των ασθενών που δεν είχαν λάβει θεραπεία θα είχαν επιβιώσει χωρίς να χρειάζονται μηχανική αναπνευστική υποστήριξη.

Από τη μελέτη προέκυψε επίσης ότι το Zolgensma μπορεί να βοηθήσει τα βρέφη να καθίσουν χωρίς υποστήριξη για τουλάχιστον 30 δευτερόλεπτα. Τα 14 από τα 22 βρέφη που έλαβαν Zolgensma ήταν σε θέση να καθίσουν χωρίς υποστήριξη μετά από 18 μήνες, ένα ορόσημο που δεν θα είχε επιτευχθεί ποτέ σε βρέφη με σοβαρές μορφές της νόσου τα οποία δεν είχαν ακολουθήσει θεραπευτική αγωγή.

## **Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Zolgensma;**

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Zolgensma είναι αυξημένα ηπατικά ένζυμα, ηπατική βλάβη (ηπατοτοξικότητα), χαμηλά επίπεδα αιμοπεταλίων (θρομβοκυτταροπενία), αυξημένα επίπεδα τροπονίνης (δείκτης που υποδεικνύει βλάβη στους μύες της καρδιάς), πυρετός και έμετος.

Για τον πλήρη κατάλογο των περιορισμών και των ανεπιθύμητων ενεργειών που έχουν αναφερθεί με το Zolgensma, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης.

## **Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Zolgensma στην ΕΕ;**

Από την κύρια μελέτη του Zolgensma προέκυψε ότι μια εφάπαξ έγχυση μπορεί να βελτιώσει την επιβίωση των εν λόγω ασθενών και να μειώσει την ανάγκη τους για μόνιμη μηχανική αναπνευστική υποστήριξη. Μπορεί επίσης να τους βοηθήσει να επιτύχουν αναπτυξιακά ορόσημα. Όσον αφορά την ασφάλειά του, οι ανεπιθύμητες ενέργειες του Zolgensma θεωρούνται διαχειρίσιμες. Η πιο συχνή ανεπιθύμητη ενέργεια που διαπιστώθηκε στο πλαίσιο της μελέτης, τα αυξημένα ηπατικά ένζυμα, έχριζαν θεραπείας με στεροειδή. Ως εκ τούτου, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι τα οφέλη του Zolgensma υπερτερούν των διαπιστωθέντων κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Στο Zolgensma χορηγήθηκε αρχικά «έγκριση υπό όρους», διότι αναμένονταν περισσότερα αποδεικτικά στοιχεία για το φάρμακο. Μετά την υποβολή των απαραίτητων πρόσθετων πληροφοριών από την παρασκευάστρια εταιρεία, η «έγκριση υπό όρους» μετατράπηκε σε «πλήρη έγκριση».

## **Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Zolgensma;**

Η εταιρεία που εμπορεύεται το Zolgensma θα παράσχει στους φροντιστές εκπαιδευτικό υλικό με πληροφορίες σχετικά με τον τρόπο ασφαλούς χρήσης του φαρμάκου, τους κινδύνους που συνδέονται με αυτό και τον τρόπο προσδιορισμού και αναφοράς των ανεπιθύμητων ενεργειών. Επίσης, θα διενεργήσει μελέτη σχετικά με τη μακροχρόνια αποτελεσματικότητα και ασφάλεια του φαρμάκου.

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν επίσης συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Zolgensma.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Zolgensma τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Zolgensma αξιολογούνται προσεκτικά και λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

## **Λοιπές πληροφορίες για το Zolgensma**

Το Zolgensma έλαβε άδεια κυκλοφορίας υπό όρους, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την ΕΕ, στις 18 Μαΐου 2020. Η εν λόγω άδεια μετατράπηκε σε πλήρη άδεια κυκλοφορίας στις 17 Μαΐου 2022.

Περισσότερες πληροφορίες για το Zolgensma διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zolgensma](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zolgensma)

Τελευταία ενημέρωση της ανασκόπησης: 08-2022.