



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zolgensma (*onasemnogen abeparvovek*)

Pregled informacija o lijeku Zolgensma i zašto je odobren u EU-u

Što je Zolgensma i za što se koristi?

Zolgensma je lijek za gensku terapiju za liječenje spinalne mišićne atrofije (SMA), ozbiljnog poremećaja živaca koji uzrokuje propadanje mišića i slabost.

Namijenjen je bolesnicima s nasljednim mutacijama gena *SMN1* kojima je dijagnosticirana ili SMA tipa 1 (najteža vrsta) ili imaju najviše 3 kopije drugog gena pod nazivom *SMN2*.

Spinalna mišićna atrofija rijetka je bolest, a lijek Zolgensma dobio je status „lijeka za rijetku bolest“ 19. lipnja 2015. Više informacija o statusu lijeka za rijetku bolest možete naći ovdje:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Zolgensma sadrži djelatnu tvar onasemnogen abeparvovek.

Kako se Zolgensma primjenjuje?

Zolgensma se daje kao jednokratna intravenska infuzija (ukapavanje) u trajanju od otprilike jednog sata. Infuzija se treba davati u klinici ili bolnici pod nadzorom liječnika s iskustvom u liječenju spinalne mišićne atrofije.

Prije i nakon primanja infuzije bolesnik će obaviti niz pretraga, uključujući pretrage jetre i krvne pretrage, te će mu se davati kortikosteroidni lijekovi kako bi se smanjio rizik od nuspojava. Lijek se izdaje samo na recept. Za više informacija o primjeni lijeka Zolgensma pročitajte uputu o lijeku, odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

Kako djeluje Zolgensma?

Bolesnici sa spinalnom mišićnom atrofijom imaju nedostatak na genu *SMN1*, koji je tijelu potreban za stvaranje proteina ključnog za normalno funkcioniranje živaca koji kontroliraju pokrete mišića. Djelatna tvar lijeka Zolgensma, onasemnogen abeparvovek, sadrži funkcionalnu kopiju tog gena. Kada se ubrizga, ulazi u živce gdje osigurava ispravan gen kako bi se proizvelo dovoljno proteina i time obnovila funkcija živaca.

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



Koje su koristi od lijeka Zolgensma utvrđene u ispitivanjima?

Glavno ispitivanje pokazalo je da lijek Zolgensma smanjuje potrebu za umjetnom ventilacijom u dojenčadi sa spinalnom mišićnom atrofijom. U tom je ispitivanju 20 od 22 dojenčadi koje je primalo lijek Zolgensma bilo živo i nakon 14 mjeseci te disalo bez trajne ventilacije. U normalnim bi okolnostima samo četvrtina neliječene dojenčadi preživjela bez ventilatora.

Ispitivanjem je također utvrđeno da lijek Zolgensma može pomoći dojenčadi da sjedi bez pomoći najmanje 30 sekundi. To je nakon 18 mjeseci uspjelo učiniti 14 od 22 dojenčadi koje je primalo lijek Zolgensma, što je važan korak koji neliječena dojenčad s teškim oblicima bolesti nikada do tada nije uspjela postići.

Koji su rizici povezani s lijekom Zolgensma?

Najčešće nuspojave lijeka Zolgensma jesu povišeni jetreni enzimi, oštećenje jetre (hepatotoksičnost), niske razine krvnih pločica (trombocitopenija), povišene razine troponina (mjera koja ukazuje na oštećenje srčanog mišića), vrućica i povraćanje.

Potpuni popis ograničenja i nuspojava povezanih s lijekom Zolgensma potražite u uputi o lijeku.

Zašto je lijek Zolgensma odobren u EU-u?

U glavnom ispitivanju lijeka Zolgensma utvrđeno je da jednokratna infuzija može poboljšati preživljenje u bolesnika i smanjiti potrebu za trajnom ventilacijom potrebnom za disanje. Također im može pomoći u ostvarivanju ključnih etapa razvoja. Kada je riječ o sigurnosti lijeka, smatra se da je nuspojave moguće kontrolirati. Najčešće nuspojave tijekom ispitivanja, povišeni jetreni enzimi, zahtijevale su liječenje steroidima. Europska agencija za lijekove stoga je zaključila da koristi od lijeka Zolgensma nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

Za lijek Zolgensma prvotno je izdano „uvjetno odobrenje” jer su se očekivali dodatni podatci o lijeku. Budući da je tvrtka dostavila potrebne dodatne informacije, uvjetno odobrenje pretvoreno je u potpuno odobrenje.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Zolgensma?

Tvrtka koja stavlja lijek Zolgensma u promet dostavit će edukativne materijale za njegovatelje s informacijama o sigurnoj primjeni lijeka, rizicima povezanim s lijekom te o tome kako utvrditi i prijaviti nuspojave. Također će dugoročno provesti ispitivanje sigurnosti i učinkovitosti lijeka.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Zolgensma također se nalaze u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Zolgensma kontinuirano se prate. Nuspojave prijavljene za lijek Zolgensma pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Zolgensma

Lijek Zolgensma dobio je uvjetno odobrenje za stavljanje u promet koje je na snazi u EU-u od 18. svibnja 2020. To je odobrenje pretvoreno u potpuno odobrenje za stavljanje u promet 17. svibnja 2022.

Više informacija o lijeku Zolgensma dostupno je na internetskim stranicama Agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zolgensma

Pregled informacija posljednji je put ažuriran u 8. 2022.