



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zolgensma (*onasemnogene abeparvovec*)

Sintesi di Zolgensma e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Zolgensma e per cosa si usa?

Zolgensma è un medicinale di terapia genica per il trattamento dell'atrofia muscolare spinale, una grave affezione dei nervi che causa distrofia e debolezza muscolare.

È indicato in pazienti con mutazioni ereditarie a carico di geni noti come *SMN1*, cui è stata diagnosticata l'atrofia muscolare spinale di tipo 1 (il tipo più grave) o che presentano fino a 3 copie di un altro gene noto come *SMN2*.

L'atrofia muscolare spinale è rara e Zolgensma è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 19 giugno 2015. Maggiori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul sito web: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Zolgensma contiene il principio attivo onasemnogene abeparvovec.

Come si usa Zolgensma?

Zolgensma è somministrato mediante singola infusione (flebo) in vena nell'arco di circa un'ora. L'infusione deve essere somministrata in una clinica o in un ospedale sotto la supervisione di un medico esperto nella gestione dell'atrofia muscolare spinale.

Prima e dopo l'infusione, il paziente deve essere sottoposto ad una serie di esami, inclusi esami del fegato e del sangue, e devono essergli somministrati medicinali corticosteroidi per ridurre il rischio di effetti indesiderati. Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. Per maggiori informazioni sull'uso di Zolgensma, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Zolgensma?

I pazienti affetti da atrofia muscolare spinale hanno un difetto nel gene noto come *SMN1*, necessario all'organismo per produrre una proteina fondamentale per il corretto funzionamento dei nervi che controllano i movimenti muscolari. Il principio attivo di Zolgensma, onasemnogene abeparvovec, contiene una copia funzionale di tale gene. Quando viene iniettato, passa nei nervi, fornendo il gene corretto necessario per produrre una quantità sufficiente della proteina e ristabilendo quindi la funzione nervosa.

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



Quali benefici di Zolgensma sono stati evidenziati negli studi?

Uno studio principale ha mostrato che Zolgensma riduce la necessità di ventilazione artificiale nei bambini affetti da atrofia muscolare spinale. In tale studio, 20 dei 22 bambini cui era stato somministrato Zolgensma erano vivi e respiravano senza ventilazione permanente dopo 14 mesi, mentre solitamente solo un quarto dei pazienti non trattati sopravvive senza la necessità di ventilazione.

Lo studio ha altresì dimostrato che Zolgensma può aiutare i bambini a star seduti da soli per almeno 30 secondi. 14 dei 22 bambini che hanno ricevuto Zolgensma erano in grado di farlo dopo 18 mesi, una tappa che non viene mai raggiunta nei bambini affetti da forme gravi della malattia non trattati.

Quali sono i rischi associati a Zolgensma?

Gli effetti indesiderati più comuni di Zolgensma sono aumento degli enzimi epatici, lesioni del fegato (epatotossicità), bassi livelli di piastrine nel sangue (trombocitopenia), aumento dei livelli di troponina (una misura che indica un danno al muscolo cardiaco), febbre e vomito.

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Zolgensma, vedere il foglio illustrativo.

Perché Zolgensma è autorizzato nell'UE?

Lo studio principale di Zolgensma mostra che una singola infusione può migliorare la sopravvivenza dei pazienti e ridurre la necessità di ventilazione permanente per respirare. Può inoltre aiutare a raggiungere importanti tappe nello sviluppo. In merito alla sua sicurezza, gli effetti indesiderati rilevati con Zolgensma sono considerati gestibili; l'effetto indesiderato più comune, ossia l'aumento degli enzimi del fegato, richiedeva il trattamento con uno steroide. Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Zolgensma sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Zolgensma aveva inizialmente ottenuto una "autorizzazione subordinata a condizioni" in quanto erano attese ulteriori informazioni sul medicinale. Poiché la ditta ha fornito le informazioni aggiuntive necessarie, l'autorizzazione è stata modificata da subordinata a condizioni a incondizionata.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Zolgensma?

La ditta che commercializza Zolgensma fornirà agli operatori sanitari materiale educativo contenente informazioni su come usare il medicinale in sicurezza, sui rischi ad esso associati e su come individuare e segnalare gli effetti indesiderati. Inoltre, condurrà uno studio sulla sicurezza e sull'efficacia del medicinale nel lungo termine.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Zolgensma sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Zolgensma sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati riportati con Zolgensma sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Zolgensma

Zolgensma ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio subordinata a condizioni valida in tutta l'UE il 18 maggio 2020. L'autorizzazione è stata modificata in un'autorizzazione all'immissione in commercio incondizionata il 17 maggio 2022.

Ulteriori informazioni su Zolgensma sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:

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

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 08-2022.