



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Zolgensma (*onasemnogēna abeparvoveks*)

Zolgensma pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

### Kas ir Zolgensma un kāpēc tās lieto?

Zolgensma ir gēnu terapijas zāles mugurkaula muskuļu atrofijas ārstēšanai, kas ir nopietna nervu slimība, kura izraisa muskuļu atrofiju un vājumu.

Tās ir paredzētas pacientiem ar iedzimtām mutācijām, kas ietekmē gēnus *SMN1*, kuriem vai nu diagnosticēta 1. tipa (vissmagākā tipa) mugurkaula muskuļu atrofija, vai kuriem ir līdz trīs cita gēna (kas pazīstams kā *SMN2*) kopijas.

Mugurkaula muskuļu atrofija ir reta slimība, un 2015. gada 19. jūnijā Zolgensma tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509).

Zolgensma satur aktīvo vielu onasemnogēna abeparvoveku.

### Kā lieto Zolgensma?

Zolgensma ievada vēnā ar infūziju (pa pilienam), kas ilgst apmēram vienu stundu. Infūzijai jānotiek klīnikā vai slimnīcā tāda ārsta uzraudzībā, kuram ir pieredze mugurkaula muskuļu atrofijas ārstēšanā.

Pirms un pēc infūzijas pacientam veic vairākas pārbaudes, tostarp aknu un asins analīzes, un viņi lieto kortikosteroīdus saturošas zāles, lai samazinātu blakusparādību risku. Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti. Papildu informāciju par Zolgensma lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

### Kā Zolgensma darbojas?

Pacientiem ar mugurkaula muskuļu atrofiju ir defekts gēnā, ko dēvē par *SMN1* un kas organismā nepieciešams, lai producētu olbaltumvielu, kas ir būtiska normālai to nervu darbībai, kuri kontrolē muskuļu kustības. Zolgensma aktīvā viela onasemnogēna abeparvoveks satur šā gēna funkcionālu kopiju. Injicējot tas nonāk nervos, no kurienes tas nodrošina, lai pareizais gēns producē pietiekami daudz olbaltumvielas un tādējādi atjauno nervu darbību.

---

**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



## **Kādi *Zolgensma* ieguvumi atklāti pētījumos?**

Pamatpētījumā pierādīja, ka *Zolgensma* samazina mākslīgās ventilācijas nepieciešamību zīdaiņiem ar mugurkaula muskuļu atrofiju. Šajā pētījumā 20 no 22 zīdaiņiem, kuri saņēma *Zolgensma*, palika dzīvi un elpoja bez pastāvīga ventilatora pēc 14 mēnešiem, lai gan parasti tikai ceturtdaļa neārstētu pacientu izdzīvoja bez ventilatora.

Turklāt pētījumā pierādīja, ka *Zolgensma* var palīdzēt bērniem palikt sēžam bez palīdzības vismaz 30 sekundes. To pēc 18 mēnešiem varēja izdarīt 14 no 22 zīdaiņiem, kuri saņēma *Zolgensma*, un tas ir būtisks panākums, kas nekad nav sasniegts attiecībā uz neārstētiem zīdaiņiem ar smagām slimības formām.

## **Kāds risks pastāv, lietojot *Zolgensma*?**

Visbiežākās *Zolgensma* blakusparādības ir paaugstināts aknu enzīmu līmenis, aknu bojājums (hepatotoksicitāte), zems trombocītu līmenis asinīs (trombocitopēnija), paaugstināts troponīna līmenis (rādītājs, kas liecina par sirds muskuļa bojājumu), drudzis un vemšana.

Pilnu visu ziņoto blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot *Zolgensma*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

## **Kāpēc *Zolgensma* ir reģistrētas ES?**

*Zolgensma* pamatpētījumā pierādīja, ka vienreizēja infūzija var uzlabot šo pacientu dzīvildzi un samazināt vajadzību pēc pastāvīga ventilatora elpošanai. Tas var arī palīdzēt viņiem sasniegt attīstības atskaites punktus. Attiecībā uz drošumu *Zolgensma* blakusparādības tiek uzskatītas par kontrolējamām. Pētījumā visbiežāk novērotā blakusparādība bija paaugstināts aknu enzīmu līmenis, kura ārstēšanai vajadzīgs steroīds. Tāpēc Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Zolgensma*, pārsniedz šo zāļu radīto risku un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

*Zolgensma* sākotnēji bija reģistrētas "ar nosacījumiem". Tas nozīmē, ka bija sagaidāmi papildu dati par šīm zālēm. Tā kā uzņēmums iesniedza vajadzīgo papildu informāciju, zāļu reģistrāciju ar nosacījumiem aizstāja ar parasto reģistrāciju.

## **Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Zolgensma* lietošanu?**

Uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Zolgensma*, nodrošinās aprūpētājiem izglītojošus materiālus ar informāciju par to, kā droši lietot zāles, ar zālēm saistītos riskus un kā identificēt blakusparādības un ziņot par tām. Tas arī veiks pētījumu par zāļu drošumu un efektivitāti ilgtermiņā.

Turklāt zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti arī ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Zolgensma* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Zolgensma* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Zolgensma* lietošanu saistītās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

## **Cita informācija par *Zolgensma***

2020. gada 18. maijā *Zolgensma* saņēma reģistrācijas ar nosacījumiem apliecību, kas derīga visā ES. Tā 2022. gada 17. maijā tika aizstāta ar parasto reģistrāciju.

Sīkāka informācija par *Zolgensma* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zolgensma](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zolgensma)

Šis kopsavilkums pēdējo reizi atjaunināts 2022. gada augustā.