



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Zolgensma (*onasemnogene abeparvovec*)

Ħarsa ġenerali lejn Zolgensma u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

### X'inhu Zolgensma u għal xiex jintuża?

Zolgensma huwa mediċina ta' terapija tal-ġeni għall-kura ta' atrofiya muskolari tas-sinsla, kundizzjoni serja tan-nervituri li tikkawża li l-muskoli jinxtorbu u jiddgħajfu.

Huwa maħsub għall-pazjenti b'mutazzjonijiet li jintirtu u li jaffettwaw lil ġene magħruf bħala *SMN1*, li jew ġew dijanjostikati b'SMA tat-tip 1 (l-aktar tip sever) jew għandhom sa 3 kopji ta' ġene ieħor magħruf bħala *SMN2*.

L-atrofiya muskolari tas-sinsla hija rari, u Zolgensma ġie denominat bħala "mediċina orfni" (mediċina li tintuża f'mard rari) fid-19 ta' Ġunju 2015. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tinstab hawn: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509).

Zolgensma fih is-sustanza attiva onasemnogene abeparvovec.

### Kif jintuża Zolgensma?

Zolgensma jingħata darba bħala infużjoni (dripp) ġol-vina għal madwar siegħa. L-infużjoni għandha ssejtni fi klinika jew fi sptar taħt is-supervizzjoni ta' tabib b'esperjenza fil-ġestjoni ta' atrofiya muskolari tas-sinsla.

Qabel ma jirċievi l-infużjoni u wara li jirċeviha, lill-pazjent se jsirulu għadd ta' testijiet, inklużi testijiet tal-fwied u tad-demem u se jingħata mediċini kortikosteroidi biex jitnaqqas ir-riskju ta' effetti sekondarji. Il-mediċina tista' tinkiseb biss b'riċetta ta' tabib. Għal iktar informazzjoni dwar l-użu ta' Zolgensma, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

### Kif jaħdem Zolgensma?

Il-pazjenti b'atrofiya muskolari tas-sinsla għandhom difett fil-ġene magħruf bħala *SMN1*, li l-ġisem jeħtieġ biex jipproduċi proteina essenzjali għall-funzjonament normali tan-nervituri li jikkontrollaw il-movimenti tal-muskoli. Is-sustanza attiva f'Zolgensma, l-onasemnogene abeparvovec, fiha kopja funzjonali ta' dan il-ġene. Meta tiġi injettata, tgħaddi għal ġon-nervituri minn fejn tipprovdi l-ġene korrett biex tiġi prodotta biżżejjed proteina u b'hekk terġa' tiġi stabbilita l-funzjoni tan-nervituri.

**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



## **X'inhuma l-benefiċċi ta' Zolgensma li hargu mill-istudji?**

Studju ewlieni wera li Zolgensma jnaqqas il-bżonn ta' ventilazzjoni artifiċjali fi trabi b'atrofija muskolari tas-sinla. F'dan l-istudju, 20 mit-22 tarbija li ngħataw Zolgensma kienu ħajjin u jieħdu n-nifs mingħajr ventilatur permanenti wara 14-il xahar, meta normalment kwart biss ta' pazjenti mhux ikkurati jibqgħu ħajjin mingħajr ma jkun hemm bżonn ta' ventilatur.

L-istudju wera wkoll li Zolgensma jista' jgħin lit-trabi joqogħdu bilqiegħda mingħajr għajnuna għal mill-inqas 30 sekonda. 14 mit-22 tarbija li ngħataw Zolgensma setgħu jagħmlu dan wara 18-il xahar, stadju importanti li qatt ma jinkiseb fi trabi b'forom severi tal-marda li ma jkunux ġew ikkurati.

## **X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Zolgensma?**

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Zolgensma huma żieda fl-enzimi tal-fwied, ħsara fil-fwied (epatotossicità), livelli baxxi tal-pjastrini tad-demem (tromboċitopenja), livelli għoljin ta' troponin (kejl li jindika ħsara fil-muskolu tal-qalb), deni u rimettar.

Għal-lista sħiħa tar-restrizzjonijiet u l-effetti sekondarji ta' Zolgensma, ara l-fuljett ta' tagħrif.

## **Għaliex Zolgensma ġie awtorizzat fl-UE?**

L-istudju ewlieni ta' Zolgensma wera li infużjoni ta' darba tista' ttejjeb is-sopravivenza f'dawn il-pazjenti u tnaqqas il-bżonn ta' ventilatur permanenti għat-teħid tan-nifs. Jista' jgħinhom ukoll jilhqqu stadji importanti tal-iżvilupp. Fir-rigward tas-sigurtà tiegħu, l-effetti sekondarji ta' Zolgensma huma kkunsidrati maniġġabbli; l-effett sekondarju l-aktar komuni fl-istudju, żieda fl-enzimi tal-fwied, kellu bżonn il-kura bi steroidi. L-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini għaldaqstant iddeċidiet li l-benefiċċi ta' Zolgensma huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

Originarjament Zolgensma ngħata "awtorizzazzjoni kkundizzjonata", minħabba li kien għad hemm aktar evidenza x'tingħata dwar il-mediċina. Peress li l-kumpanija forniet l-informazzjoni addizzjonali meħtieġa, l-awtorizzazzjoni ma baqgħetx kkundizzjonata u saret sħiħa.

## **X'miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Zolgensma?**

Il-kumpanija li tqiegħed Zolgensma fis-suq se tipprovdi materjal edukattiv lil dawk li jieħdu ħsieb il-pazjenti b'informazzjoni dwar kif il-mediċina tintuża b'mod sigur, ir-riskji assoċjati mal-mediċina u kif jiġu identifikati u rrapportati effetti sekondarji. Se twettaq ukoll studju dwar is-sigurtà u l-effikaċja tal-mediċina fit-tul.

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi wkoll ir-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Zolgensma.

Bħal fil-każ tal-mediċini kollha, id-*data* dwar l-użu ta' Zolgensma hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji rrapportati b'Zolgensma huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tiproteġi lill-pazjenti.

## **Informazzjoni oħra dwar Zolgensma**

Zolgensma rċieva awtorizzazzjoni kkundizzjonata għat-tqegħid fis-suq valida fl-UE fit-18 ta' Mejju 2020. Din inbidlet għal awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq sħiħa fis-17 ta' Mejju 2022.

Aktar informazzjoni dwar Zolgensma tinstab fis-sit web tal-Aġenzija:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zolgensma](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zolgensma)

Din il-ħarsa ġenerali ġiet aġġornata l-aħħar f'08-2022.