



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zolgensma (*onasemnogene abeparvovec*)

Een overzicht van Zolgensma en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Zolgensma en wanneer wordt het voorgeschreven?

Zolgensma is een geneesmiddel voor genterapie voor het behandelen van spinale spieratrofie, een ernstige aandoening aan de zenuwen die spierverslies en zwakte veroorzaakt.

Het middel is bedoeld voor patiënten met erfelijke mutaties die invloed hebben op het gen *SMN1*, die ofwel zijn gediagnosticeerd met SMA type 1 (het ernstigste type), of tot drie kopieën hebben van *SMN2*, een ander gen.

Spinale spieratrofie is zeldzaam, en Zolgensma werd op 19 juni 2015 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u op ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Zolgensma bevat de werkzame stof onasemnogene abeparvovec.

Hoe wordt Zolgensma gebruikt?

Zolgensma wordt toegediend via infusie (indruppeling) in een ader gedurende ongeveer 1 uur. De infusie moet plaatsvinden in een kliniek of ziekenhuis, onder toezicht van een arts die ervaring heeft met het behandelen van spinale spieratrofie.

Voor en na het toedienen van de infusie ondergaat de patiënt een aantal tests, waaronder lever- en bloedtests, en krijgt hij corticosteroiden om het risico op bijwerkingen te beperken. Dit geneesmiddel is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar. Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Zolgensma.

Hoe werkt Zolgensma?

Patiënten met spinale spieratrofie hebben een defect in het gen *SMN1*. Het lichaam heeft dit gen nodig om een eiwit aan te maken dat essentieel is voor de normale werking van de zenuwen die spierbewegingen aansturen. De werkzame stof in Zolgensma, onasemnogene abeparvovec, bevat een functionele kopie van dit gen. Wanneer het middel wordt geïnjecteerd, gaat het over in de zenuwen van waaruit het het juiste gen levert om voldoende van het eiwit aan te maken en zo de zenuwfunctie te herstellen.

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



Welke voordelen bleek Zolgensma tijdens de studies te hebben?

Uit een hoofdstudie bleek dat Zolgensma bij baby's met spinale spieratrofie de behoefte aan kunstmatige beademing vermindert. In deze studie waren 20 van de 22 baby's die Zolgensma kregen na 14 maanden nog in leven en ademden ze zonder een permanent beademingsapparaat, terwijl normaal gesproken slechts een kwart van de onbehandelde patiënten zou overleven zonder beademingsapparaat nodig te hebben.

Uit de studie bleek ook dat Zolgensma baby's kan helpen zonder hulp te zitten voor ten minste 30 seconden. 14 van de 22 baby's die Zolgensma toegediend kregen, waren hiertoe na 18 maanden in staat, een mijlpaal die bij onbehandelde baby's met ernstige vormen van de ziekte nooit wordt bereikt.

Welke risico's houdt het gebruik van Zolgensma in?

De meest voorkomende bijwerkingen van Zolgensma zijn verhoogde leverenzymwaarden, hepatotoxiciteit (leverbeschadiging), trombocytopenie (lage concentratie bloedplaatjes), verhoogde concentratie troponine (een meting die wijst op schade aan de hartspier), koorts en braken.

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Zolgensma.

Waarom is Zolgensma geregistreerd in de EU?

Uit de hoofdstudie met Zolgensma bleek dat een eenmalige infusie bij deze patiënten de overleving kan verlengen en de behoefte aan een permanent beademingsapparaat kan verminderen. Het middel kan ook helpen bij het bereiken van ontwikkelingsmijlpalen. Wat de veiligheid betreft, worden de bijwerkingen van Zolgensma als beheersbaar beschouwd: de meest voorkomende bijwerking in de studie, verhoogde leverenzymwaarden, was na behandeling met een steroïde verholpen. Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft daarom geconcludeerd dat de voordelen van Zolgensma groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Aan Zolgensma werd aanvankelijk 'voorwaardelijke registratie' verleend omdat er nog meer informatie over het geneesmiddel zou volgen. Aangezien het bedrijf de noodzakelijke aanvullende informatie heeft verstrekt, werd de voorwaardelijke registratie omgezet in een volwaardige registratie.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Zolgensma te waarborgen?

Het bedrijf dat Zolgensma in de handel brengt, zal zorgverleners voorzien van voorlichtingsmateriaal met informatie over een veilig gebruik van het geneesmiddel, de risico's van het geneesmiddel en het identificeren en melden van bijwerkingen. Het bedrijf zal ook een studie uitvoeren naar de veiligheid en werkzaamheid van het geneesmiddel op lange termijn.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Zolgensma, zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Zolgensma continu gevolgd. Bijwerkingen waargenomen voor Zolgensma worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Zolgensma

Op 18 mei 2020 is een in de hele EU geldige voorwaardelijke vergunning voor het in de handel brengen van Zolgensma verleend. Deze is op 17 mei 2022 omgezet in een volwaardige handelsvergunning.

Meer informatie over Zolgensma is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zolgensma

Dit overzicht is voor het laatst bijgewerkt in 08-2022.