



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/173982/2020
EMA/H/C/004750

Zolgensma (*onasemnogene abeparvovec*)

Um resumo sobre Zolgensma e porque está autorizado na UE

O que é Zolgensma e para que é utilizado?

Zolgensma é um medicamento de terapia genética para o tratamento da atrofia muscular espinal (AME), uma doença grave dos nervos que provoca atrofia e fraqueza muscular.

Destina-se a doentes com mutações hereditárias que afetam os genes conhecidos por SMN1, que tenham sido diagnosticados com AME de Tipo 1 (tipo mais severo) ou que tenham até 3 cópias de outro gene denominado SMN2.

A atrofia muscular espinal é uma doença rara, e Zolgensma foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) a 19 de junho de 2015. Mais informações sobre a designação órfã podem ser encontradas aqui: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Zolgensma contém a substância ativa Onasemnogene abeparvovec.

Como se utiliza Zolgensma?

Zolgensma é administrado por perfusão (gota a gota) numa veia, com a duração aproximada de 1 hora. A perfusão deve ser realizada numa clínica ou num hospital sob a supervisão de um médico com experiência na gestão da atrofia muscular espinal.

Antes e depois de receber a perfusão, o doente fará uma série de análises, incluindo análises ao fígado e ao sangue, e receberá medicamentos corticosteroides para reduzir o risco de efeitos secundários. O medicamento só pode ser obtido mediante receita médica. Para mais informações sobre a utilização de Zolgensma, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Como funciona Zolgensma?

Os doentes com atrofia muscular espinal apresentam um defeito num gene conhecido por *SMN1*, do qual o organismo necessita para produzir uma proteína essencial para o funcionamento normal dos nervos que controlam os movimentos musculares. A substância ativa em Zolgensma, onasemnogene abeparvovec, contém uma cópia funcional deste gene. Quando injetada, passa para os nervos e a partir daí fornece o gene correto para produzir proteína em quantidade suficiente, repondo, assim, a função 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



Quais os benefícios demonstrados por Zolgensma durante os estudos?

Um estudo principal demonstrou que Zolgensma reduz a necessidade de ventilação artificial em bebês com atrofia muscular espinal. Neste estudo, 20 dos 22 bebês que receberam Zolgensma estavam vivos e a respirar sem ventilador permanente após 14 meses, ao passo que, normalmente, apenas um quarto dos doentes não tratados sobrevive sem necessitar de ventilador.

O estudo demonstrou também que Zolgensma pode ajudar os bebês a ficarem sentados sem apoio durante, pelo menos, 30 segundos. Dos 22 bebês que receberam Zolgensma, 14 eram capazes de ficar sentados sem apoio após 18 meses, um marco que nunca foi atingido em bebês não tratados com formas graves de doença.

Quais são os riscos associados a Zolgensma?

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Zolgensma (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) são o aumento das enzimas produzidas pelo fígado e vômitos. Para a lista completa das restrições de utilização e dos efeitos secundários comunicados relativamente a Zolgensma, consulte o Folheto Informativo.

Porque está Zolgensma autorizado na UE?

O estudo principal de Zolgensma demonstrou que uma perfusão única pode melhorar a sobrevivência nestes doentes e reduzir a necessidade de um ventilador permanente para respirar. Pode também ajudar os doentes a atingir os marcos de desenvolvimento.

Em termos de segurança, os efeitos secundários de Zolgensma são considerados controláveis. O efeito secundário mais frequente no estudo, o aumento das enzimas produzidas pelo fígado, foi resolvido após o tratamento com um esteroide.

Por conseguinte, a Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Zolgensma são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Foi concedida a Zolgensma uma autorização condicional. Isto significa que se aguardam dados adicionais sobre este medicamento, que a empresa está obrigada a fornecer. A Agência procederá, anualmente, à análise de novas informações disponíveis e, se necessário, à atualização do presente resumo.

Que informação ainda se aguarda sobre Zolgensma?

Dado que foi concedida uma autorização condicional a Zolgensma, a empresa que comercializa o medicamento irá fornecer dados adicionais sobre os seus benefícios e riscos. Estes incluem dados de 2 estudos em doentes com idade inferior a 6 meses com AME de Tipo 1 e um estudo em doentes com menos de 6 semanas que não apresentam sintomas mas para os quais foi confirmado o diagnóstico de AME com base em testes genéticos.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Zolgensma?

A empresa que comercializa Zolgensma irá proceder a um estudo de segurança e de eficácia do medicamento a longo prazo e fornecer dados de outro estudo para melhorar a consistência dos lotes dos medicamentos.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram igualmente incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Zolgensma.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Zolgensma são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Zolgensma são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Zolgensma

Mais informações sobre Zolgensma podem ser encontradas no sítio da internet da Agência:

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