



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Zolgensma (*onasemnogén abeparvovek*)

Prehľad o lieku Zolgensma a prečo bol povolený v EÚ

### Čo je liek Zolgensma a na čo sa používa?

Zolgensma je liek na génovú terapiu na liečbu spinálnej svalovej atrofie, závažného ochorenia nervov, ktoré zapríčiňuje úbytok a slabosť svalov.

Je určený pre pacientov s vrodenými mutáciami postihujúcimi gény známe ako *SMN1*, ktorým bol diagnostikovaný buď SMA 1. typu (najzávažnejší typ) alebo majú až tri kópie iného génu známeho ako *SMN2*.

Spinálna svalová atrofia je zriedkavé ochorenie, a preto bol liek Zolgensma 19. júna 2015 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť tu: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509).

Liek Zolgensma obsahuje liečivo onasemnogén abeparvovek.

### Ako sa liek Zolgensma používa?

Liek Zolgensma sa podáva vo forme jednorazovej infúzie (na kvapkanie) do žily, ktorá trvá asi 1 hodinu. Infúzia sa má vykonať na klinike alebo v nemocnici pod dohľadom lekára, ktorý má skúsenosti s liečbou spinálnej svalovej atrofie.

Pred infúziou a po nej musí pacient absolvovať niekoľko testov vrátane pečeňových a krvných testov a na zníženie rizika vedľajších účinkov mu budú podané lieky obsahujúce kortikosteroidy. Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis. Viac informácií o používaní lieku Zolgensma si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

### Akým spôsobom liek Zolgensma účinkuje?

Pacienti so spinálnou svalovou atrofiou majú chybný gén známy ako *SMN1*, ktorý telo potrebuje na tvorbu proteínu nevyhnutného na správne fungovanie nervov kontrolujúcich pohyb svalov. Liečivo lieku Zolgensma, onasemnogén abeparvovek, obsahuje funkčnú kópiu tohto génu. Po vstreknutí prechádza do nervov, kde zabezpečí správny gén na tvorbu dostatočného množstva proteínu, a tým obnoví nervovú funkciu.

---

**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



## **Aké prínosy lieku Zolgensma boli preukázané v štúdiách?**

Na základe hlavnej štúdie sa ukázalo, že liek Zolgensma znižuje potrebu umelej ventilácie u dojčiat so spinálnou svalovou atrofiou. V tejto štúdii bolo po 14 mesiacoch nažive a dýchalo bez permanentnej ventilácie 20 z 22 dojčiat, ktorým sa podával liek Zolgensma, zatiaľ čo bežne prežije bez potreby použitia permanentnej ventilácie iba štvrtina neliečených pacientov.

V štúdii sa takisto ukázalo, že liek Zolgensma môže pomôcť dojčatám sedieť bez pomoci minimálne 30 sekúnd. Z 22 dojčiat, ktoré dostávali liek Zolgensma, to po 18 mesiacoch dokázalo 14. Ide o významný úspech, ktorý sa doteraz nepodarilo u neliečených dojčiat so závažnými formami ochorenia dosiahnuť.

## **Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Zolgensma?**

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Zolgensma sú zvýšená hladina pečeňových enzýmov, poškodenie pečene (hepatotoxicita), nízka hladina krvných doštičiek (trombocytopenia), zvýšená hladina troponínu (parameter, ktorý naznačuje poškodenie srdcového svalu), horúčka a vracanie.

Zoznam všetkých obmedzení a všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Zolgensma sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

## **Prečo bol liek Zolgensma povolený v EÚ?**

Na základe hlavnej štúdie lieku Zolgensma sa ukázalo, že jednorazová infúzia môže zlepšiť prežitie u týchto pacientov a znižuje potrebu permanentnej ventilácie na dýchanie. Takisto im môže pomôcť dosiahnuť kľúčové body rozvoja. Pokiaľ ide o bezpečnosť, vedľajšie účinky lieku Zolgensma sa považujú za zvládnuteľné. Najčastejší vedľajší účinok v štúdii, zvýšené hladiny pečeňových enzýmov, si vyžadoval liečbu steroidom. Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Zolgensma sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Liek Zolgensma bol pôvodne povolený tzv. s podmienkou, pretože sa čakalo na ďalšie dôkazy o lieku. Keďže spoločnosť predložila ďalšie potrebné informácie, povolenie s podmienkou sa zmenilo na úplné povolenie.

## **Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Zolgensma?**

Spoločnosť, ktorá uvádza liek Zolgensma na trh, poskytne opatrovateľom vzdelávacie materiály s informáciami o tom, ako používať liek bezpečne, o rizikách súvisiacich s liekom a o tom, ako identifikovať a hlásiť vedľajšie účinky. Okrem toho uskutoční štúdiu o dlhodobej bezpečnosti a účinnosti lieku.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Zolgensma boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Zolgensma sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Zolgensma sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

## **Ďalšie informácie o lieku Zolgensma**

Lieku Zolgensma bolo 18. mája 2020 udelené povolenie na uvedenie na trh s podmienkou platné v celej EÚ. Dňa 17. mája 2022 bolo toto povolenie zmenené na úplné.

Ďalšie informácie o lieku Zolgensma sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 08-2022