



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zolgensma (*onasemnogen abeparvovek*)

Pregled zdravila Zolgensma in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Zolgensma in za kaj se uporablja?

Zolgensma je zdravilo, ki se uporablja za gensko zdravljenje spinalne mišične atrofije, tj. hudega obolenja živcev, ki povzroča razgradnjo in oslabelost mišic.

Namenjeno je bolnikom s podedovanimi mutacijami, ki vplivajo na gene, znane kot *SMN1*, pri katerih je bila ugotovljena diagnoza s spinalno mišično atrofijo tipa 1 (najtežji tip) ali ki imajo do tri kopije drugega gena, znanega kot *SMN2*.

Spinalna mišična atrofija je redka bolezen, zato je bilo zdravilo Zolgensma 19. junija 2015 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije glede določitve zdravila sirote lahko najdete tukaj: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Zdravilo Zolgensma vsebuje učinkovino onasemnogen abeparvovek.

Kako se zdravilo Zolgensma uporablja?

Zdravilo Zolgensma se daje z enkratnim infundiranjem (kapalno infuzijo) v veno, ki traja približno eno uro. Infundiranje mora potekati v kliničnem centru ali bolnišnici pod nadzorom zdravnika z izkušnjami z zdravljenjem spinalne mišične atrofije.

Pred infuzijo in po njej bo moral bolnik opraviti več preiskav, vključno z jetrnimi in krvnimi testi, in bo prejel kortikosteroidna zdravila, da se zmanjša tveganje neželenih učinkov. Predpisovanje in izdaja zdravila je le na recept. Za več informacij glede uporabe zdravila Zolgensma glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Zolgensma deluje?

Bolniki s spinalno mišično atrofijo imajo okvaro v genu, znanem kot *SMN1*, ki ga telo potrebuje za izdelavo beljakovine, ki je bistvena za normalno delovanje živcev, odgovornih za nadziranje gibanja mišic. Učinkovina v zdravilu Zolgensma, onasemnogen abeparvovek, vsebuje funkcionalno kopijo tega gena. Z injiciranjem preide v živce, od koder zagotavlja pravilen gen, ki izdelava dovolj beljakovine in s tem ponovno vzpostavi delovanje živcev.

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



Kakšne koristi zdravila Zolgensma so se pokazale v študijah?

Glavna študija je pokazala, da zdravilo Zolgensma zmanjšuje potrebo po umetnem predihavanju pri dojenčkih s spinalno mišično atrofijo. V tej študiji je bilo 20 od 22 dojenčkov, ki so prejeli zdravilo Zolgensma, po dopoljenih 14 mesecih živih in niso potrebovali stalnega umetnega predihavanja, medtem ko bi običajno brez potrebe po umetnem predihavanju preživela samo četrtnina nezdravljenih bolnikov.

Študija je pokazala tudi, da lahko zdravilo Zolgensma pomaga dojenčkom sedeti brez pomoči najmanj 30 sekund. 14 od 22 dojenčkov, ki so prejeli zdravilo Zolgensma, je bilo to sposobno storiti po dopoljenih 18 mesecih, kar je mejnik, ki ni nikoli dosežen pri nezdravljenih dojenčkih s hujšimi oblikami te bolezni.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Zolgensma?

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Zolgensma so zvišane vrednosti jetrnih encimov, poškodbe jeter (hepatotoksičnost), nizke ravni trombocitov (trombocitopenija), povišane ravni troponina (merilo, ki kaže na poškodbo srčne mišice), povišana telesna temperatura in bruhanje.

Za celoten seznam omejitev in neželenih učinkov zdravila Zolgensma glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo Zolgensma odobreno v EU?

Glavna študija zdravila Zolgensma je pokazala, da lahko enkratna infuzija izboljša preživetje teh bolnikov in zmanjša potrebo po stalnem umetnem predihavanju, potrebnem za dihanje. Pomaga jim lahko tudi pri doseganju razvojnih mejnikov. Kar zadeva varnost, se neželeni učinki zdravila Zolgensma štejejo za obvladljive; najpogostejši neželeni učinek v študiji, tj. zvišane vrednosti jetrnih encimov, je zahteval zdravljenje s steroidi. Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Zolgensma večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Zdravilo Zolgensma je prvotno pridobilo „pogojno dovoljenje za promet“, ker je bilo pričakovanih še več dokazov o zdravilu. Ker je podjetje predložilo dodatne zahtevane podatke, je bilo dovoljenje za promet spremenjeno iz pogojnega v običajno.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Zolgensma?

Podjetje, ki trži zdravilo Zolgensma, bo negovalcem priskrbelo izobraževalno gradivo z informacijami o varni uporabi zdravila, tveganjih, povezanih z njim, ter načinih prepoznavanja neželenih učinkov in poročanja o njih. Prav tako bo izvedlo študijo o dolgoročni varnosti in učinkovitosti zdravila.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Zolgensma upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Zolgensma stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Zolgensma, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Zolgensma

Za zdravilo Zolgensma je bilo 18. maja 2020 izdano pogojno dovoljenje za promet, veljavno po vsej EU. To je bilo 17. maja 2022 spremenjeno v običajno dovoljenje za promet.

Nadaljnje informacije za zdravilo Zolgensma so na voljo na spletni strani agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zolgensma.

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 08-2022.