



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zolgensma (*onasemnogén abeparvovec*)

Información general sobre Zolgensma y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Zolgensma y para qué se utiliza?

Zolgensma es un medicamento para terapia génica indicado en el tratamiento de la atrofia muscular espinal, una enfermedad nerviosa grave que provoca desgaste y debilidad musculares.

Está indicado en pacientes con mutaciones hereditarias que afectan a los genes conocidos como *SMN1*, a los que o bien se les ha diagnosticado atrofia muscular espinal (AME) de tipo 1 (el tipo más grave) o que presentan hasta 3 copias de otro gen conocido como *SMN2*.

La atrofia muscular espinal es una enfermedad «rara», y Zolgensma ha sido designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 19 de junio de 2015. Puede encontrar información adicional sobre las designaciones como medicamento huérfano en: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Zolgensma contiene el principio activo onasemnogén abeparvovec.

¿Cómo se usa Zolgensma?

Zolgensma se administra mediante perfusión (goteo) en vena por espacio de una hora. La perfusión deberá efectuarse en una clínica u hospital, bajo la supervisión de un médico con experiencia en el tratamiento de la atrofia muscular espinal.

Antes y después de recibir la perfusión, el paciente se someterá a una serie de pruebas, en particular del hígado y la sangre, y se le administrarán medicamentos corticosteroides para reducir el riesgo de efectos adversos. Este medicamento solo se podrá dispensar con receta médica. Para más información sobre el uso de Zolgensma, consulte el prospecto o póngase en contacto con su médico o farmacéutico.

¿Cómo actúa Zolgensma?

Los pacientes con atrofia muscular espinal presentan defecto de un gen conocido como *SMN1*, necesario para que el organismo pueda fabricar una proteína esencial para el funcionamiento normal de los nervios que controlan los movimientos musculares. El principio activo de Zolgensma, onasemnogén abeparvovec, contiene una copia funcional de este gen. Cuando se inyecta, se introduce

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



en los nervios, a partir de los cuales proporciona el gen correcto para fabricar la proteína suficiente y, en consecuencia, restablecer la función nerviosa.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Zolgensma en los estudios realizados?

Un estudio principal demostró que Zolgensma reduce la necesidad de ventilación artificial en bebés con atrofia muscular espinal. En este estudio, 20 de los 22 bebés a los que se administró Zolgensma estaban vivos y respiraban sin un ventilador permanente al cabo de 14 meses, cuando normalmente solo una cuarta parte de los pacientes no tratados sobreviviría sin necesidad de un ventilador.

El estudio demostró también que Zolgensma puede ayudar a los niños a sentarse sin necesidad de ayuda durante al menos 30 segundos. 14 de los 22 bebés a los que se administró Zolgensma pudieron hacerlo al cabo de 18 meses, un hito que nunca se había logrado en bebés no tratados con formas graves de la enfermedad.

¿Cuáles son los riesgos asociados a Zolgensma?

Los efectos adversos más frecuentes de Zolgensma son aumento de las enzimas hepáticas, lesión hepática (hepatotoxicidad), bajos niveles de plaquetas en sangre (trombocitopenia), aumento de los niveles de troponina (una medida que indica daños en el músculo cardíaco), fiebre y vómitos.

Para consultar la lista completa de restricciones y efectos adversos notificados con Zolgensma, consulte el prospecto.

¿Por qué se ha autorizado Zolgensma en la UE?

El estudio principal de Zolgensma demostró que una única perfusión puede mejorar la supervivencia en estos pacientes y reducir la necesidad de un respirador permanente para respirar. También puede ayudarles a alcanzar hitos en materia de desarrollo. En cuanto a su seguridad, los efectos adversos de Zolgensma se consideran controlables; el efecto adverso más habitual en el estudio, el aumento de las enzimas hepáticas, se resolvió después del tratamiento con un esteroide. Por consiguiente, la Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Zolgensma son mayores que sus riesgos y ha recomendado autorizar su uso en la UE.

A Zolgensma se le concedió inicialmente una «autorización condicional» porque quedaba pendiente la presentación de datos complementarios sobre el medicamento. Dado que la empresa ha facilitado la información adicional necesaria, la autorización fue modificada de «condicional» a «completa».

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Zolgensma?

La empresa que comercializa Zolgensma proporcionará materiales educativos a los cuidadores con información sobre cómo utilizar el medicamento de forma segura, los riesgos asociados al medicamento y cómo identificar y notificar los efectos adversos. También llevará a cabo un estudio sobre la seguridad y la eficacia del medicamento a largo plazo.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Zolgensma se han incluido también en la ficha técnica o resumen de las características del producto y en el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Zolgensma se controlan de forma continua. Los efectos adversos notificados de Zolgensma son evaluados cuidadosamente y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Zolgensma:

Zolgensma recibió una autorización condicional de comercialización válida en toda la UE el 18 de mayo de 2020. Esta autorización pasó a ser una autorización de comercialización completa el miércoles, 17 de mayo de 2022.

Puede encontrar información adicional sobre Zolgensma en la página web de la Agencia:

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

Fecha de la última actualización de este resumen: 08-2022.