

Kurzbericht Arzneimittelzulassung vom 06.12.2024

## Zolgensma<sup>®</sup> (Wirkstoff: Onasemnogen-Abeparvovec)

Befristete Zulassung in der Schweiz: 28.06.2021

Infusionslösung zur Behandlung von Säuglingen und Kleinkindern bis 2 Jahren mit spinaler Muskelatrophie (SMA),

---

### Über das Arzneimittel

Zolgensma enthält den Wirkstoff Onasemnogen-Abeparvovec und ist eine Gentherapie, die zur Behandlung von Kindern mit der seltenen, schweren Erbkrankheit spinale Muskelatrophie (SMA) eingesetzt wird.

SMA tritt auf, wenn ein wichtiges Gen, das für die Produktion eines Proteins namens «Survival Motor Neuron 1» (SMN1) verantwortlich ist, fehlt oder eine Anomalie aufweist. Der Mangel an SMN1-Proteinen führt dazu, dass Nervenzellen, die für die Muskelkontrolle verantwortlich sind, absterben, was zu Muskelschwäche und zum Verlust der Bewegungsfähigkeit führt. Mit Hilfe einer Infusion von Zolgensma werden

Körperzellen die essentielle genetische Information des SMN1-Gens zugeführt., die den Zellen als Grundlage für die Produktion funktioneller SMN1-Proteine dient.

Das Arzneimittel wird zur Behandlung von Kindern mit Mutationen in beiden Kopien (bi-allelisch) des SMN1-Gens verwendet und darf nur bis zum Alter von zwei Jahren verabreicht werden.

Da es sich bei spinaler Muskelatrophie um eine seltene und lebensbedrohende Krankheit handelt, wurde das Arzneimittel als «Orphan Drug» zugelassen. Mit Orphan Drug werden wichtige Arzneimittel für seltene Krankheiten bezeichnet.

---

### Wirkung

Zolgensma ist ein gentherapeutisches Arzneimittel, das zur Behandlung von Kindern mit einer bestimmten genetischen Erkrankung, der spinalen Muskelatrophie (SMA), eingesetzt wird. Diese Krankheit entsteht, weil ein wichtiges Gen, das sogenannte SMN1-Gen, fehlt oder mutiert ist. Zolgensma liefert eine funktionsfähige Kopie dieses

Gens an die Zellen der Patientin oder des Patienten, sodass diese wieder das notwendige SMN-Protein produzieren können. Dies hilft, die Nervenzellen zu erhalten, die für die Steuerung der Muskelbewegung verantwortlich sind, und wirkt der fortschreitenden Muskelschwäche und dem Verlust der Bewegungsfähigkeit entgegen.

---

## Anwendung

---

Zolgensma ist rezeptpflichtig.

Zolgensma wird als Infusionslösung intravenös (in die Venen) durch medizinisches Fachpersonal in spezialisierten neuromuskulären Zentren verabreicht.

Die Dosierung erfolgt individuell, basierend auf dem Körpergewicht des Kindes.

Die Patientinnen und Patienten werden kontinuierlich überwacht, um mögliche Nebenwirkungen frühzeitig zu erkennen.

---

## Wirksamkeit

---

Die Wirksamkeit von Zolgensma wurde in der Studie AVXS-101-CL-303 untersucht. Die Studie umfasste 22 Patientinnen und Patienten mit SMA Typ 1 und zwei Kopien des SMN2-Gens.

Die primären Endpunkte der Studie waren das Überleben ohne dauerhafte Beatmung bis zum Alter von 14 Monaten und das Errei-

chen des motorischen Meilensteins «selbstständiges Sitzen für mindestens 30 Sekunden» bis zum Alter von 18 Monaten.

Das Ergebnis war, dass 20 von 22 Patienten (90,9 %) bis zum Alter von 14 Monaten ohne dauerhafte Beatmung überlebten. Insgesamt 14 Patienten (63,6 %) konnten ohne Unterstützung für mindestens 30 Sekunden sitzen.

---

## Vorsichtsmassnahmen, unerwünschte Wirkungen & Risiken

---

Zolgensma darf bei einer Überempfindlichkeit gegenüber dem Wirkstoff oder einem der Hilfsstoffe nicht angewendet werden.

Zolgensma kann schwere Leberprobleme hervorrufen, darunter akute Leberschädigung und Leberversagen. Aus diesem Grund sollten die Leberwerte (ALT, AST, Gesamtbilirubin) sowohl vor als auch nach der Infusion regelmässig kontrolliert werden. Zu den häufigsten unerwünschten Wirkungen gehören erhöhte Leberenzyme (24.2 %), Erbrechen (9.1 %), Fieber (5.1 %) und erhöhte Troponin-I-Werte<sup>1</sup> (3.0 %).

Seit der weltweiten Markteinführung wurden sehr selten Fälle von thrombotischer Mikroangiopathie<sup>2</sup> berichtet.

Patientinnen und Patienten sollten vor der Infusion in einem stabilen Allgemeinzustand sein und keine Anzeichen einer Infektion aufweisen.

Alle Vorsichtsmassnahmen, Risiken und weitere mögliche unerwünschte Wirkungen sind in der Patientinnen- und Patienteninformation (Packungsbeilage) sowie in der Fachinformation aufgeführt.

---

## Begründung des Zulassungsentscheids

---

Derzeit gibt es keine Heilung für Spinale Muskelatrophie (SMA). Zolgensma ist eine

alternative Behandlungsmöglichkeit, die darauf abzielt, das Fortschreiten der Krankheit

---

<sup>1</sup> Erhöhte Troponin-I-Werte können auf eine mögliche Schädigung des Herzmuskels hinweisen.

<sup>2</sup> Thrombotische Mikroangiopathie: Eine thrombotische Mikroangiopathie ist eine seltene, aber ernsthafte Erkrankung, die durch Thrombozytopenie (niedrige Blutplättchenzahl), hämolytische Anämie (Zerstörung der roten Blutkörperchen) und akutes Nierenversagen gekennzeichnet ist.

zu verlangsamen und die Lebensqualität zu verbessern.

Studien haben gezeigt, dass Zolgensma das Überleben und die motorischen Fähigkeiten signifikant verbessern kann, speziell bei Patientinnen und Patienten, die früh behandelt werden.

Schwere Nebenwirkungen wie erhöhte Leberenzyme und Thrombozytopenie wurden beobachtet, und müssen durch entsprechende Überwachung und Behandlung kontrolliert werden.

Das Arzneimittel Zolgensma wurde in der Schweiz befristet zugelassen (Art. 9a HMG), da zum Zeitpunkt der Zulassung noch nicht alle klinischen Studien vorliegen oder abgeschlossen waren. Die befristete Zulassung ist zwingend an die zeitgerechte Einreichung der von Swissmedic verlangten ergänzenden Daten gebunden. Nach Erfüllung dieser Zulassungsaufgaben kann die befristete Zulassung bei positiver Nutzen-Risiko-Bewertung der Resultate in eine Zulassung ohne besondere Auflagen überführt werden.

---

## Weitere Informationen zum Arzneimittel

---

Information für medizinisches Fachpersonal:  
[Fachinformation Zolgensma®](#)

Weitere Fragen beantworten Gesundheitsfachpersonen.

Information für Patientinnen und Patienten (Packungsbeilage): [Patientinnen- und Patienteninformation Zolgensma®](#)

Der Stand dieser Information entspricht demjenigen des SwissPAR. Neue Erkenntnisse über das zugelassene Arzneimittel fliessen nicht in den Kurzbericht Arzneimittelzulassung ein.

In der Schweiz zugelassene Arzneimittel werden von Swissmedic überwacht. Bei neu festgestellten unerwünschten Arzneimittelwirkungen oder anderen sicherheitsrelevanten Signalen leitet Swissmedic die notwendigen Massnahmen ein. Neue Erkenntnisse, welche die Qualität, die Wirksamkeit oder die Sicherheit dieses Arzneimittels beeinträchtigen könnten, werden von Swissmedic erfasst und publiziert. Bei Bedarf wird die Arzneimittelinformation angepasst.