

Rapporto sintetico di omologazione del 06.12.2024

Zolgensma[®] (principio attivo: onasemnogen-abeparvovec)

Omologazione temporanea in Svizzera: 28.06.2021

Soluzione per infusione per il trattamento di neonate/i e bambine/i piccoli, fino a 2 anni di età, affetti da atrofia muscolare spinale (SMA).

Informazioni sul medicamento

Zolgensma contiene il principio attivo onasemnogen-abeparvovec ed è una terapia genica utilizzata per il trattamento di bambine/i affetti da una malattia ereditaria rara e grave chiamata «atrofia muscolare spinale» (SMA).

La SMA si verifica nel caso in cui un determinato gene necessario per produrre una proteina essenziale (nota come proteina di «sopravvivenza dei motoneuroni», SMN1) manca o presenta un'anomalia. La mancanza della proteina SMN1 provoca la morte delle cellule nervose che controllano i muscoli (motoneuroni). Ciò causa l'indebolimento e il deperimento dei muscoli, con conseguente perdita della

capacità di movimento. Zolgensma fornisce alle cellule una copia completamente funzionante del gene SMN1 in modo che il corpo possa produrre una quantità sufficiente di proteine SMN1.

Il medicamento è utilizzato per il trattamento di bambine e bambini con mutazioni in entrambe le copie (mutazione biallelica) del gene SMN1 e può essere somministrato solo fino all'età di due anni.

Poiché l'atrofia muscolare spinale è una malattia rara potenzialmente letale, il medicamento è stato omologato come «medicamento orfano». Sono definiti orfani i medicinali importanti per malattie rare.

Meccanismo d'azione

Zolgensma è un medicamento per la terapia genica che viene impiegato per il trattamento di bambine/i affetti da una particolare malattia genetica, l'atrofia muscolare spinale (SMA). Questa malattia si verifica perché un gene importante, il cosiddetto gene SMN1, è mancante o mutato. Zolgen-

sma fornisce una copia funzionante di questo gene alle cellule della/del paziente, in modo che il corpo possa produrre nuovamente la proteina SMN necessaria. Questo aiuta a conservare le cellule nervose responsabili del controllo del movimento muscolare

e contrasta la progressiva debolezza muscolare e la perdita della capacità di movimento.

Impiego

Zolgensma è soggetto a prescrizione medica.

Zolgensma è somministrato come soluzione per infusione per via endovenosa (in vena) da personale medico-sanitario in centri neuromuscolari specializzati.

La quantità di Zolgensma da somministrare sarà determinata in base al peso corporeo della bambina o del bambino.

Le/I pazienti sono sottoposti a monitoraggio costante per rilevare precocemente possibili effetti collaterali.

Efficacia

L'efficacia di Zolgensma è stata presa in esame nell'ambito dello studio AVXS-101-CL-303. Lo studio ha coinvolto 22 pazienti con SMA di tipo 1 e due copie del gene SMN2.

Gli endpoint primari dello studio erano la sopravvivenza senza richiedere la ventilazione permanente fino all'età di 14 mesi e il raggiungimento del traguardo motorio «stare

seduti senza supporto per almeno 30 secondi» fino all'età di 18 mesi.

Il risultato è stato il seguente: 20 pazienti su 22 (90,9%) sono sopravvissuti fino all'età di 14 mesi senza ventilazione permanente. Un totale 14 pazienti (63,6%) sono riusciti a stare seduti senza supporto per almeno 30 secondi.

Misure precauzionali, effetti indesiderati e rischi

Zolgensma non deve essere usato in caso di ipersensibilità al principio attivo o a una qualsiasi sostanza ausiliaria.

Zolgensma può causare gravi problemi epatici, tra cui lesioni epatiche gravi e insufficienza epatica acuta. Per questo motivo, il monitoraggio della funzionalità epatica (ALT, AST, bilirubina totale) deve essere effettuato regolarmente sia prima che dopo l'infusione. Gli effetti indesiderati più comuni includono l'aumento degli enzimi epatici (24,2%), vomito (9,1%), febbre (5,1%) e un aumento dei livelli della troponina I¹ (3,0%).

Dall'introduzione del medicamento sul mercato mondiale sono stati riportati molto raramente casi di microangiopatia trombotica².

Prima dell'infusione, occorre assicurarsi che i pazienti siano clinicamente stabili in termini di salute generale e non diano segni di infezione.

Tutte le misure precauzionali, i rischi e altri possibili effetti indesiderati sono elencati nell'informazione destinata ai pazienti (foglio illustrativo) e nell'informazione professionale.

¹ Livelli elevati di troponina I possono indicare un possibile danno al muscolo cardiaco.

² Microangiopatia trombotica: la microangiopatia trombotica è una malattia rara ma grave, caratterizzata da trombocitopenia (ridotto numero di piastrine nel sangue), anemia emolitica microangiopatica (distruzione dei globuli rossi nel sangue) e lesione renale acuta.

Motivazione della decisione di omologazione

Attualmente non esiste una cura per l'atrofia muscolare spinale (SMA). Zolgensma è un'opzione terapeutica alternativa che mira a rallentare la progressione della malattia e a migliorare la qualità della vita.

Gli studi hanno dimostrato che Zolgensma può migliorare significativamente la sopravvivenza e le capacità motorie, in particolare in pazienti trattati precocemente.

Sono stati osservati gravi effetti collaterali, come l'aumento degli enzimi epatici e la trombocitopenia, che devono essere monitorati e trattati in modo appropriato.

Il medicamento Zolgensma ha ottenuto un'omologazione temporanea in Svizzera (art. 9a LATer) perché al momento dell'omologazione non erano ancora disponibili o conclusi tutti gli studi clinici. L'omologazione temporanea è necessariamente vincolata alla presentazione tempestiva dei dati supplementari richiesti da Swissmedic. Una volta soddisfatte le condizioni per l'omologazione, l'omologazione temporanea potrà essere convertita in un'omologazione senza oneri particolari se la valutazione rischi-benefici dei risultati è positiva.

Maggiori informazioni sul medicamento

Informazione per il personale medico-sanitario: [Informazione professionale di Zolgensma®](#)

Informazione destinata alle/ai pazienti (foglio illustrativo): [Informazione destinata alle/ai pazienti di Zolgensma®](#)

Per altre domande, rivolgersi alle/ai professioniste/i della salute.

Lo stato di questa informazione corrisponde a quello dello SwissPAR. Le nuove conoscenze acquisite sul medicamento omologato non sono incluse nel Rapporto sintetico di omologazione.

I medicinali omologati in Svizzera sono monitorati da Swissmedic. In caso di nuovi effetti indesiderati riscontrati o di altri segnali rilevanti per la sicurezza, Swissmedic adotterà le misure necessarie. Swissmedic si occuperà di registrare e pubblicare qualsiasi nuova conoscenza acquisita concernente aspetti che potrebbero compromettere la qualità, l'efficacia o la sicurezza di questo medicamento. Se necessario, l'informazione sul medicamento sarà modificata.