

## **B. FOGLIO ILLUSTRATIVO**

Agenzia Italiana del Farmaco

## Foglio illustrativo: informazioni per l'utilizzatore

### Zolgensma $2 \times 10^{13}$ genomi vettoriali/mL soluzione per infusione onasemnogene abeparvovec

▼ Medicinale sottoposto a monitoraggio addizionale. Ciò permetterà la rapida identificazione di nuove informazioni sulla sicurezza. Lei può contribuire segnalando qualsiasi effetto indesiderato riscontrato dal bambino durante l'assunzione di questo medicinale. Vedere la fine del paragrafo 4 per le informazioni su come segnalare gli effetti indesiderati.

#### **Legga attentamente questo foglio prima che questo medicinale sia somministrato al bambino perché contiene importanti informazioni.**

- Conservi questo foglio. Potrebbe aver bisogno di leggerlo di nuovo.
- Se ha qualsiasi dubbio, si rivolga al medico o all'infermiere del bambino.
- Se il bambino manifesta un qualsiasi effetto indesiderato, compresi quelli non elencati in questo foglio, si rivolga al medico o all'infermiere del bambino. Vedere paragrafo 4.

#### **Contenuto di questo foglio**

1. Cos'è Zolgensma e a cosa serve
2. Cosa deve sapere prima che Zolgensma sia somministrato al bambino
3. Come viene somministrato Zolgensma
4. Possibili effetti indesiderati
5. Come conservare Zolgensma
6. Contenuto della confezione e altre informazioni

#### **1. Cos'è Zolgensma e a cosa serve**

##### **Cos'è Zolgensma**

Zolgensma è un tipo di medicinale chiamato "terapia genica". Contiene il principio attivo onasemnogene abeparvovec che contiene materiale genetico umano.

##### **A cosa serve Zolgensma**

Zolgensma si usa per trattare l'"atrofia muscolare spinale" (SMA), una rara, grave malattia ereditaria.

##### **Come agisce Zolgensma**

La SMA si verifica quando risulta mancante o anormale la versione di un gene necessario per produrre una proteina essenziale nota come proteina di "sopravvivenza dei motoneuroni" (SMN). La mancanza di proteina SMN provoca la morte dei nervi che controllano i muscoli (motoneuroni). Ciò causa indebolimento e deperimento muscolare, con conseguente perdita di movimento.

Il medicinale agisce fornendo una copia perfettamente funzionante del gene SMN che successivamente aiuta l'organismo a produrre una quantità sufficiente di proteina SMN. Il gene viene trasportato nelle cellule dove la sua presenza è necessaria, usando un virus modificato che non causa malattie nell'uomo.

#### **2. Cosa deve sapere prima che Zolgensma sia somministrato al bambino**

##### **NON usi Zolgensma**

- se il bambino è allergico a onasemnogene abeparvovec o ad uno qualsiasi degli altri componenti di questo medicinale (elencati al paragrafo 6).

##### **Avvertenze e precauzioni**

Il medico del bambino controllerà l'eventuale presenza di anticorpi prima del trattamento, che aiuteranno a decidere se questo medicinale sia adatto a lui.

### Problemi al fegato

Parli con il medico o l'infermiere del bambino prima che gli venga somministrato questo medicinale, se il bambino ha avuto problemi al fegato. Questo medicinale può determinare un aumento degli enzimi (proteine che troviamo all'interno del corpo) prodotti dal fegato o danno al fegato. Lesioni al fegato possono portare a esiti gravi, tra cui insufficienza epatica e morte. Dopo che il bambino avrà ricevuto questo medicinale sarà necessario che lei monitori eventuali segni che includono vomito, ittero (ingiallimento della pelle o del bianco degli occhi), o vigilanza ridotta (vedere paragrafo 4 per maggiori informazioni). Informi immediatamente il medico del bambino se nota che il bambino sviluppa sintomi indicativi di danno al fegato.

Il bambino effettuerà esami del sangue per controllare se il fegato funziona bene prima di iniziare il trattamento con Zolgensma. Il bambino effettuerà inoltre esami del sangue regolari per almeno 3 mesi dopo il trattamento per monitorare eventuali aumenti degli enzimi epatici.

### Infezione

Un'infezione (per esempio, raffreddore, influenza o bronchiolite) prima o dopo il trattamento con Zolgensma, può portare a complicanze più serie. Le persone che si prendono cura del paziente e i contatti stretti devono seguire le pratiche di prevenzione delle infezioni (ad es. igiene delle mani, norme di comportamento in caso di tosse/starnuti, limitazione dei potenziali contatti). Deve prestare attenzione a segni di un'infezione come tosse, respiro sibilante, starnuti, naso gocciolante, mal di gola o febbre. Informi immediatamente il medico del bambino se nota che il bambino sviluppa un qualsiasi sintomo indicativo di infezione **prima o dopo** il trattamento con Zolgensma.

### Esami del sangue regolari

Questo medicinale può abbassare la conta delle piastrine nel sangue (trombocitopenia). Deve prestare attenzione a possibili segni di una bassa conta piastrinica cui deve prestare attenzione dopo che al bambino viene somministrato Zolgensma come lividi o sanguinamento anomali (per maggiori informazioni vedere paragrafo 4). La maggior parte dei casi segnalati di conta piastrinica bassa si è verificata entro le prime tre settimane dopo la somministrazione di Zolgensma al bambino.

Zolgensma può aumentare i livelli di una proteina del cuore chiamata troponina I che può indicare un danno al cuore. Deve prestare attenzione a possibili segni di problemi al cuore dopo che al bambino viene somministrato questo medicinale, come colorazione grigio chiaro o blu della pelle, difficoltà di respirazione, gonfiore delle braccia o delle gambe o della pancia (per maggiori informazioni vedere paragrafo 4).

Prima di iniziare il trattamento con Zolgensma, il bambino effettuerà esami del sangue per controllare la quantità delle cellule del sangue (compresi globuli rossi e piastrine), nonché il livello di troponina I nel corpo. Il bambino effettuerà anche un esame del sangue per controllare il livello della creatinina, che è un indicatore di come stanno lavorando i reni. Effettuerà anche regolari esami del sangue per un certo periodo di tempo dopo il trattamento per monitorare eventuali variazioni nei livelli delle piastrine e della troponina I.

### Coagulazione anormale del sangue nei piccoli vasi sanguigni (microangiopatia trombotica)

Sono stati segnalati casi di pazienti che sviluppano microangiopatia trombotica generalmente nelle prime due settimane dopo il trattamento con Zolgensma. La microangiopatia trombotica è accompagnata da una diminuzione dei globuli rossi e delle cellule coinvolte nella coagulazione (piastrine) e può causare morte. Questi coaguli di sangue potrebbero danneggiare i reni del bambino. Il medico del bambino potrebbe voler effettuare esami del sangue del bambino (conta piastrinica) e controllare la pressione sanguigna. I possibili segni ai quali è necessario prestare attenzione dopo che è stato somministrato Zolgensma al bambino includono facilità a manifestare lividi, crisi convulsive (attacchi) o diminuzione della produzione di urina (vedere paragrafo 4 per ulteriori informazioni). Chieda assistenza medica urgente se il bambino sviluppa uno qualsiasi di questi segni.

### Donazione di sangue, organi, tessuti e cellule

Dopo che il bambino verrà trattato con Zolgensma non sarà più possibile donare sangue, organi, tessuti o cellule per il trapianto. Questo perché Zolgensma è un prodotto di terapia genica.

### **Altri medicinali e Zolgensma**

Informi il medico o l'infermiere del bambino se il bambino sta assumendo, ha recentemente assunto o potrebbe assumere qualsiasi altro medicinale.

#### Prednisolone

Nel trattamento con Zolgensma, il bambino riceverà per circa 2 mesi o più anche un medicinale corticosteroide come il prednisolone (vedere anche paragrafo 3). Il medicinale corticosteroide aiuterà a gestire ogni aumento degli enzimi epatici che il bambino potrebbe manifestare dopo aver ricevuto Zolgensma.

#### Vaccinazioni

Poiché i corticosteroidi possono avere un effetto sul sistema immunitario (di difesa) dell'organismo, **il medico del bambino potrà decidere di posticipare alcune vaccinazioni** nel periodo in cui il bambino riceve un trattamento con corticosteroidi. Se ha qualsiasi dubbio, si rivolga al medico o all'infermiere del bambino.

### **Zolgensma contiene sodio**

Questo medicinale contiene meno di 1 mmol (23 mg) di sodio per mL, equivalente allo 0,23% dell'assunzione massima giornaliera raccomandata dall'OMS che corrisponde a 2 g di sodio. Ogni flaconcino da 5,5 mL contiene 25,3 mg di sodio e ogni flaconcino da 8,3 mL contiene 38,2 mg di sodio.

### **Ulteriori informazioni per i genitori/assistenti**

#### SMA avanzata

Zolgensma può salvare i motoneuroni vitali ma non salva quelli morti. I bambini con sintomi di SMA meno gravi (come assenza di riflessi o tono muscolare ridotto) potrebbero avere sufficienti motoneuroni vitali per avere un beneficio significativo dal trattamento con Zolgensma. Zolgensma potrebbe non essere altrettanto efficace in bambini con grave debolezza muscolare o paralisi, con problemi respiratori o non in grado di deglutire, o in bambini con malformazioni significative (come difetti cardiaci), inclusi i pazienti con SMA tipo 0, poiché ci può essere un miglioramento potenziale limitato derivante dal trattamento con Zolgensma. Il medico del bambino deciderà se somministrare questo medicinale al bambino.

#### Rischio di tumori associati al potenziale inserimento nel DNA

Esiste la possibilità che terapie come Zolgensma possano inserirsi nel DNA delle cellule del corpo umano. Di conseguenza, Zolgensma potrebbe contribuire al rischio di tumori a causa della natura del medicinale. Ne discuta con il medico del bambino. In caso di tumore, il medico del bambino può prelevare un campione per un'ulteriore valutazione.

#### Precauzioni igieniche

Il principio attivo contenuto in Zolgensma potrebbe essere escreto in via temporanea con i rifiuti corporei del bambino; questo è chiamato "disseminazione". I genitori e gli assistenti devono osservare una buona igiene delle mani per un periodo fino a 1 mese dopo che il bambino riceve Zolgensma. Indossi guanti protettivi quando entra in contatto diretto con i fluidi o rifiuti corporei del bambino e successivamente si lavi accuratamente le mani con sapone e acqua calda corrente o usi un detergente a base di alcol. Usi un doppio sacchetto per lo smaltimento dei pannolini sporchi e di altri rifiuti. I pannolini usa-e-getta potranno essere smaltiti nei rifiuti domestici.

Dovrà continuare a seguire queste istruzioni per almeno 1 mese dopo che il bambino sarà stato trattato con Zolgensma. Se ha qualsiasi dubbio, si rivolga al medico o all'infermiere del bambino.

### 3. Come viene somministrato Zolgensma

Zolgensma sarà somministrato da un medico o un infermiere addestrato a gestire la malattia.

Il medico deciderà la quantità di Zolgensma che il bambino riceverà in base al peso del bambino. Zolgensma viene somministrato mediante singola infusione (flebo) endovenosa (in vena) per più di 1 ora circa.

#### **Zolgensma sarà somministrato al bambino solo UNA VOLTA.**

Il bambino riceverà anche prednisolone (o un altro corticosteroide) per via orale, a partire da 24 ore prima della somministrazione di Zolgensma. Anche la dose di corticosteroide dipenderà dal suo peso. Il medico del bambino stabilirà la dose totale da somministrare.

Il bambino riceverà il trattamento corticosteroide ogni giorno per circa 2 mesi dopo la dose di Zolgensma, o fino a quando gli enzimi epatici diminuiranno a un livello accettabile. Il medico ridurrà lentamente la dose di corticosteroide fino a che sarà possibile interrompere completamente la somministrazione.

Se ha qualsiasi dubbio, si rivolga al medico o all'infermiere del bambino.

### 4. Possibili effetti indesiderati

Come tutti i medicinali, questo medicinale può causare effetti indesiderati sebbene non tutte le persone li manifestino.

**Chieda assistenza medica urgente** se il bambino sviluppa uno qualsiasi dei seguenti effetti indesiderati gravi:

**Comuni** (possono interessare fino a 1 persona su 10)

- lividi o sanguinamento di durata più lunga del solito, se il bambino si è fatto male - potrebbero essere segni di una bassa conta piastrinica;
- colorazione grigio chiaro o blu della pelle, difficoltà di respirazione (per esempio, respirazione rapida, respiro corto), gonfiore delle braccia e delle gambe o della pancia - potrebbero essere segni di possibili problemi cardiaci.

**Non comuni** (possono interessare fino a 1 persona su 100)

- vomito, ittero (ingiallimento della pelle o del bianco degli occhi) o vigilanza ridotta - questi possono essere segni di danno al fegato (compresa insufficienza epatica);
- facilità a manifestare lividi, crisi convulsive (attacchi), diminuzione della produzione di urina – questi possono essere segni di microangiopatia trombotica.

Se il bambino sviluppa qualunque altro effetto indesiderato, si rivolga al suo medico o infermiere. Tali effetti indesiderati possono includere:

**Molto comuni** (possono interessare più di 1 persona su 10):

- aumenti degli enzimi del fegato osservati agli esami del sangue.

**Comuni** (possono interessare fino a 1 persona su 10):

- vomito;
- febbre.

### **Segnalazione degli effetti indesiderati**

Se il bambino manifesta un qualsiasi effetto indesiderato, compresi quelli non elencati in questo foglio, si rivolga al medico o all'infermiere del bambino. Può inoltre segnalare gli effetti indesiderati direttamente tramite il sistema nazionale di segnalazione riportato nell'allegato V. Segnalando gli effetti indesiderati può contribuire a fornire maggiori informazioni sulla sicurezza di questo medicinale.

### **5. Come conservare Zolgensma**

Tenere questo medicinale fuori dalla vista e dalla portata dei bambini.

Le seguenti informazioni sono per gli operatori sanitari che prepareranno e somministreranno il medicinale.

Non usi questo medicinale dopo la data di scadenza che è riportata sull'etichetta del flaconcino e sulla scatola dopo "Scad/EXP". La data di scadenza si riferisce all'ultimo giorno di quel mese.

I flaconcini saranno trasportati in congelatore (a temperatura uguale o inferiore a -60 °C).

Al ricevimento, i flaconcini devono essere riposti immediatamente in frigorifero alla temperatura di 2 °C – 8 °C, e tenuti nella scatola originale. La terapia con Zolgensma deve essere iniziata entro 14 giorni dal ricevimento dei flaconcini.

Questo medicinale contiene organismi geneticamente modificati. Il medicinale non utilizzato o i rifiuti devono essere smaltiti conformemente alle linee guida locali sulla gestione dei rifiuti biologici. Poiché questo medicinale verrà somministrato da un medico, il medico è responsabile del corretto smaltimento del prodotto. Questo aiuterà a proteggere l'ambiente.

### **6. Contenuto della confezione e altre informazioni**

#### **Cosa contiene Zolgensma**

- \* Il principio attivo è onasemnogene abeparvovec. Ogni flaconcino contiene onasemnogene abeparvovec con una concentrazione nominale di  $2 \times 10^{13}$  genomi vettoriali/mL.
- \* Gli altri componenti sono trometamina, cloruro di magnesio, cloruro di sodio, poloxamer 188, acido cloridrico (per la regolazione del pH) e acqua per preparazioni iniettabili.

#### **Descrizione dell'aspetto di Zolgensma e contenuto della confezione**

Zolgensma è una soluzione per infusione da trasparente a leggermente opaca, da incolore a bianco pallido.

Zolgensma potrà essere fornito in flaconcini con volume di riempimento nominale di 5,5 mL o 8,3 mL. Ogni flaconcino è solo monouso.

Ogni scatola conterrà da 2 a 14 flaconcini.

#### **Titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio**

Novartis Europharm Limited  
Vista Building  
Elm Park, Merrion Road  
Dublin 4  
Irlanda

**Produttore**

Almac Pharma Services Limited  
Finnabair Industrial Estate  
Dundalk, Co. Louth  
A91 P9KD  
Irlanda

Novartis Pharmaceutical Manufacturing GmbH  
Biochemiestraße 10  
6336 Langkampfen  
Austria

Novartis Pharma GmbH  
Roonstrasse 25  
90429 Norimberga  
Germania

Per ulteriori informazioni su questo medicinale, contatti il rappresentate locale del titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio:

**België/Belgique/Belgien**

Novartis Pharma N.V.  
Tél/Tel: +32 2 246 16 11

**България**

Novartis Bulgaria EOOD  
Тел: +359 2 489 98 28

**Česká republika**

Novartis s.r.o.  
Tel: +420 225 775 111

**Danmark**

Novartis Healthcare A/S  
Tlf: +45 39 16 84 00

**Deutschland**

Novartis Pharma GmbH  
Tel: +49 911 273 0

**Eesti**

SIA Novartis Baltics Eesti filiaal  
Tel: +372 66 30 810

**Ελλάδα**

Novartis (Hellas) A.E.B.E.  
Τηλ: +30 210 281 17 12

**España**

Novartis Farmacéutica, S.A.  
Tel: +34 93 306 42 00

**France**

Novartis Pharma S.A.S.  
Tél: +33 1 55 47 66 00

**Lietuva**

SIA Novartis Baltics Lietuvos filialas  
Tel: +370 5 269 16 50

**Luxembourg/Luxemburg**

Novartis Pharma N.V.  
Tél/Tel: +32 2 246 16 11

**Magyarország**

Novartis Hungária Kft.  
Tel.: +36 1 457 65 00

**Malta**

Novartis Pharma Services Inc.  
Tel: +356 2122 2872

**Nederland**

Novartis Pharma B.V.  
Tel: +31 88 04 52 111

**Norge**

Novartis Norge AS  
Tlf: +47 23 05 20 00

**Österreich**

Novartis Pharma GmbH  
Tel: +43 1 86 6570

**Polska**

Novartis Poland Sp. z o.o.  
Tel.: +48 22 375 4888

**Portugal**

Novartis Farma - Produtos Farmacêuticos, S.A.  
Tel: +351 21 000 8600

**Hrvatska**

Novartis Hrvatska d.o.o.  
Tel. +385 1 6274 220

**Ireland**

Novartis Ireland Limited  
Tel: +353 1 260 12 55

**Ísland**

Vistor hf.  
Sími: +354 535 7000

**Italia**

Novartis Farma S.p.A.  
Tel: +39 02 96 54 1

**Κύπρος**

Novartis Pharma Services Inc.  
Τηλ: +357 22 690 690

**Latvija**

SIA Novartis Baltics  
Tel: +371 67 887 070

**România**

Novartis Pharma Services Romania SRL  
Tel: +40 21 31299 01

**Slovenija**

Novartis Pharma Services Inc.  
Tel: +386 1 300 75 50

**Slovenská republika**

Novartis Slovakia s.r.o.  
Tel: +421 2 5542 5439

**Suomi/Finland**

Novartis Finland Oy  
Puh/Tel: +358 (0)10 6133 200

**Sverige**

Novartis Sverige AB  
Tel: +46 8 732 32 00

**United Kingdom (Northern Ireland)**

Novartis Ireland Limited  
Tel: +44 1276 698370

**Questo foglio illustrativo è stato aggiornato il**

**Altre fonti d'informazioni**

Informazioni più dettagliate su questo medicinale sono disponibili sul sito web dell'Agenzia europea dei medicinali, <http://www.ema.europa.eu>. Inoltre, sono riportati link ad altri siti web su malattie rare e relativi trattamenti terapeutici.

**Le informazioni seguenti sono destinate esclusivamente agli operatori sanitari:**

Importante: prima di usare il medicinale, consultare il Riassunto delle caratteristiche del prodotto (RCP).

Ogni flaconcino è solo monouso.

Questo medicinale contiene organismi geneticamente modificati. Osservare le linee guida locali per la gestione dei rifiuti biologici.

**Manipolazione**

- Zolgensma deve essere manipolato in asepsi in condizioni sterili.
- Durante la manipolazione o la somministrazione di Zolgensma si devono indossare dispositivi di protezione individuale (inclusi guanti, occhiali di sicurezza, camice da laboratorio con maniche). Il personale con tagli o graffi alla cute non deve lavorare con Zolgensma.
- Raccogliere tutte le fuoriuscite di Zolgensma con garza assorbente e disinfettare l'area con una soluzione a base di candeggina, seguita da batuffoli imbevuti d'alcol. Tutti i materiali utilizzati per ripulire devono essere riposti in doppia busta e smaltiti in conformità con le linee guida locali per la gestione dei rifiuti biologici.
- Tutti i materiali entrati potenzialmente a contatto con Zolgensma (ad esempio, flaconcino, tutti i materiali utilizzati per l'iniezione, inclusi telini sterili e aghi) devono essere smaltiti in conformità con le linee guida locali per la gestione dei rifiuti biologici.

### Esposizione accidentale

Evitare l'esposizione accidentale a Zolgensma.

In caso di esposizione cutanea accidentale, l'area interessata deve essere pulita accuratamente con acqua e sapone per almeno 15 minuti. In caso di esposizione accidentale nella zona degli occhi, l'area interessata deve essere sciacquata accuratamente con acqua per almeno 15 minuti.

### Conservazione

I flaconcini saranno trasportati in congelatore (a temperatura pari o inferiore a -60 °C). Al ricevimento, i flaconcini devono essere riposti immediatamente in frigorifero alla temperatura di 2 °C – 8 °C, e tenuti nella scatola originale. La terapia con Zolgensma deve essere iniziata entro 14 giorni dal ricevimento dei flaconcini. La data di ricevimento deve essere annotata sulla scatola originale prima di conservare il prodotto in frigorifero.

### Preparazione

I flaconcini devono essere scongelati prima dell'uso:

- per le confezioni contenenti fino a 9 flaconcini - scongelare per circa 12 ore in frigorifero (2-8 °C) o per 4 ore a temperatura ambiente (20-25 °C);
- per le confezioni contenenti fino a 14 flaconcini - scongelare per circa 16 ore in frigorifero (2-8 °C) o per 6 ore a temperatura ambiente (20-25 °C).

Non usare Zolgensma a meno che non sia stato scongelato.

Una volta scongelato, il medicinale non deve essere ri-congelato.

Una volta scongelato, ruotare delicatamente Zolgensma. NON agitare.

Non usare questo medicinale se si nota la presenza di particelle o di alterazioni di colore dopo lo scongelamento del prodotto congelato e prima della somministrazione.

Dopo lo scongelamento, Zolgensma deve essere somministrato quanto prima.

### Somministrazione

Zolgensma deve essere somministrato solo UNA VOLTA ai pazienti.

La dose di Zolgensma e il numero esatto di flaconcini necessari per ciascun paziente vengono calcolati in base al peso del paziente (vedere RCP, paragrafi 4.2 e 6.5).

Per somministrare Zolgensma, aspirare nella siringa l'intero volume della dose. Dopo aver aspirato nella siringa il volume della dose, la somministrazione deve essere effettuata entro 8 ore. Eliminare l'eventuale aria presente nella siringa prima di somministrare al paziente l'infusione endovenosa attraverso un catetere venoso. Si raccomanda l'inserimento di un catetere secondario ("di riserva") nell'eventualità di un blocco del catetere primario.

Zolgensma deve essere somministrato con la pompa per siringa mediante singola infusione endovenosa lenta nell'arco di circa 60 minuti. Deve essere somministrato solo mediante infusione endovenosa. Non somministrare in bolo o mediante iniezione endovenosa rapida. Una volta completata l'infusione, la linea deve essere lavata con una soluzione iniettabile di cloruro di sodio 0,9 mg/mL (0,9%).

### Smaltimento

Il medicinale non utilizzato e i rifiuti derivati da tale medicinale devono essere smaltiti in conformità con le linee guida locali per la gestione dei rifiuti biologici.

Può verificarsi disseminazione temporanea di Zolgensma, principalmente mediante rifiuti corporei. Occorre informare le persone che si prendono cura dei pazienti e i familiari dei pazienti in merito alle seguenti istruzioni per la corretta gestione dei fluidi e dei rifiuti dei pazienti:

- è necessaria una buona igiene delle mani (indossare guanti protettivi e successivamente lavarsi accuratamente le mani con sapone e acqua calda corrente o usare un detergente per mani contenente alcol), in caso di contatto diretto con i fluidi e i rifiuti corporei dei pazienti per almeno 1 mese dopo il trattamento con Zolgensma;
- i pannolini usa-e-getta devono essere sigillati in doppie buste di plastica e possono essere smaltiti nei rifiuti domestici.

Agenzia Italiana del Farmaco

**ALLEGATO IV**

**CONCLUSIONI SCIENTIFICHE E MOTIVAZIONI PER LA VARIAZIONE DEI TERMINI  
DELL'AUTORIZZAZIONE ALL'IMMISSIONE IN COMMERCIO**

Agenzia Italiana del Farmaco

## **Conclusioni scientifiche**

Tenendo conto della valutazione del Comitato per la valutazione dei rischi in farmacovigilanza (*Pharmacovigilance and Risk Assessment Committee, PRAC*) del Rapporto periodico di aggiornamento sulla sicurezza (*Periodic Safety Update Report, PSUR*) per onasemnogene abeparvovec, le conclusioni scientifiche del PRAC sono le seguenti:

Alla luce dei dati disponibili sull'epatotossicità, TMA e trombocitopenia provenienti da studi clinici, letteratura e report spontanei, il PRAC ha concluso che le informazioni sul medicinale contenente onasemnogene abeparvovec devono essere modificate di conseguenza.

Avendo rivisto le raccomandazioni del PRAC, il Comitato dei medicinali per uso umano (*Committee for Human Medicinal Products, CHMP*) concorda con le relative conclusioni generali e con le motivazioni della raccomandazione.

## **Motivazioni per la variazione dei termini dell'autorizzazione all'immissione in commercio**

Sulla base delle conclusioni scientifiche su onasemnogene abeparvovec il CHMP ritiene che il rapporto beneficio/rischio del medicinale contenente onasemnogene abeparvovec sia invariato fatte salve le modifiche proposte alle informazioni sul medicinale.

Il CHMP raccomanda la variazione dei termini dell'autorizzazione all'immissione in commercio.