# *Onasemnogene abeparvovec-xioi*

# (Zolgensma)

COMERCIALIZADO
EN 2021 EN ESPAÑA

*Comienzan ensayos clínicos:*
**Año 2018**

*EMA recomienda comercialización:*
**Año 2020**

*Comercialización en España:*
**Año 2021**

*Tratamiento indicado para (según Ministerio de Sanidad):*
**AME tipo 1 con 2 y 3 copias de SMN2, menores de 9 meses y AME presintomático con 2 copias**

*Empresa farmacéutica:*
**Novartis**

Segundo tratamiento aprobado por la Agencia Europea del Medicamento (EMA) y primera terapia génica. La EMA otorgó una "recomendación condicionada de comercialización" por lo que se recomienda la comercialización con menos datos sobre el fármaco, de los que habitualmente se requieren. El comité ha considerado que el beneficio de la disponibilidad inmediata del medicamento para los pacientes, supera el riesgo inherente del hecho de que no todos los datos estén aún disponibles.

## ¿EN QUÉ CONSISTE EL TRATAMIENTO?

Terapia génica diseñada para abordar la causa raíz genética de la Atrofia Muscular Espinal, reemplazando la función del gen SMN1 faltante o defectuoso.

Onasemnogene abeparvovec-xioi (Zolgensma) administra una **nueva copia funcional del gen SMN1** en las células del paciente, deteniendo la progresión de la enfermedad. Al ser capaz de cruzar la barrera hepatocefálica, permite ser administrado por **vía intravenosa** y no solo llegar a las motoneuronas, actuando sobre ellas, además alcanza otros órganos, también afectados en las AME más severas.

## ¿CÓMO FUNCIONA?

*E*sta terapia se compone de una nueva copia funcional de un gen SMN humano que se coloca dentro de un vector. Este vector transporta el nuevo gen SMN funcional a las células de las neuronas motoras del cuerpo.

El vector que libera el gen SMN está hecho de un virus llamado adenoasociado 9 o AAV9. Este tipo de virus es inofensivo. Los vectores se utilizan porque pueden viajar por todo el cuerpo y entregar el gen nuevo y funcional a las células donde se necesita.

Cuando el nuevo gen llega a su destino, las neuronas motoras comienzan a producir proteína SMN.

Tras el tratamiento, las neuronas motoras comienzan a producir suficiente proteína SMN para sobrevivir, funcionar y mantenerse.

La recomendación de EMA para la autorización de comercialización condicional se basa en los resultados preliminares de un ensayo clínico completo y tres estudios de apoyo en pacientes con atrofia muscular espinal con diferentes intensidades de gravedad de la enfermedad. Estos ensayos incluyen pacientes diagnosticados genéticamente y presintomáticos.