

EMA/277632/2017
EMA/H/C/004312

EPAR – sammendrag for offentligheden

Spinraza

nusinersen

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Spinraza. Det forklarer, hvordan agenturet vurderede lægemidlet for at kunne anbefale udstedelse af en markedsføringstilladelse i EU og fastlægge anvendelsesbetingelserne. Det er ikke en praktisk vejledning i, hvordan Spinraza bør anvendes.

Hvis du ønsker praktisk vejledning om anvendelsen af Spinraza, kan du læse indlægssedlen eller kontakte din læge eller dit apotek.

Hvad er Spinraza, og hvad anvendes det til?

Spinraza er et lægemiddel, der anvendes til behandling den genetiske sygdom 5q spinal muskeltrofi (SMA), der forårsager svaghed og svind af musklerne, herunder vejrtrækningsmusklerne. Sygdommen skyldes en fejl i kromosom 5q, og symptomerne begynder normalt kort efter fødslen.

Da antallet af patienter med SMA er lavt, betragtes sygdommen som "sjælden", og Spinraza blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 2. april 2012.

Spinraza indeholder det aktive stof nusinersen.

Hvordan anvendes Spinraza?

Spinraza udleveres kun efter recept, og behandlingen bør iværksættes af en læge med erfaring i behandling af SMA.

Lægemidlet fås som injektionsvæske, opløsning, i 12-mg-hætteglas. Det gives ved indsprøjtning nederst på ryggen direkte i rygsøjlen (intratekal injektion) af en læge eller sygeplejerske med erfaring i at udføre denne procedure. Patienten kan behøve et beroligende middel (sedativ) før indgivelse af Spinraza.

Den anbefalede dosis er 12 mg (ét hætteglas), hurtigst muligt efter at patienten har fået stillet diagnosen SMA. Den første dosis skal efterfølges af 3 yderligere doser efter 2, 4 og 9 uger og derefter én dosis hver 4. måned. Behandlingen bør fortsættes, så længe det er til fordel for patienten. De nærmere oplysninger fremgår af indlægssedlen.

Hvordan virker Spinraza?

Patienter med SMA mangler "survival motor neuron" (SMN)-proteinet, som er uundværligt for, at de nerveceller fra rygmarven, der styrer muskelbevægelserne (de motoriske neuroner), skal overleve og fungere normalt. Til dannelsen af SMN-proteinet medvirker to gener, SMN1 og SMN2. Patienter med SMA mangler SMN1-genet, men har SMN2-genet, der som regel producerer et kort SMN-protein, som ikke virker lige så godt som et protein i fuld længde.

Spinraza er et syntetisk antisense-oligonukleotid (en art genetisk materiale), som gør det muligt for SMN2-genet at producere et protein i fuld længde, der virker normalt. Det erstatter det manglende protein og mindsker derved symptomerne på sygdommen.

Hvilke fordele viser undersøgelserne, at der er ved Spinraza?

En hovedundersøgelse, der omfattede 121 spædbørn (med en gennemsnitsalder på 7 måneder) med SMA, viste, at Spinraza er effektivt til at forbedre motorikken sammenlignet med placebo (imiteret injektion).

Efter ét års behandling udviste 51 % af de spædbørn, der fik Spinraza (37 ud af 73), fremskridt med hensyn til at kontrollere hovedet, rulle, sidde, kravle, stå og gå, hvorimod der ikke var de samme fremskridt hos nogen af de spædbørn, der fik placebo. De fleste spædbørn, som blev behandlet med Spinraza, overlevede desuden længere og klarede sig længere uden åndedrætsstøtte end dem, der fik placebo.

I en igangværende anden undersøgelse vurderes Spinrazas effektivitet hos børn med mindre svær SMA, som er diagnosticeret senere (gennemsnitsalder 3 år). Interimanalysen har vist resultater, der er overensstemmende med resultaterne hos spædbørn med tidligere indsættende sygdom.

Hvilke risici er der forbundet med Spinraza?

De hyppigste bivirkninger ved Spinraza (som optræder hos mere end 1 ud af 10 patienter) er hovedpine og rygsmerter. Disse bivirkninger kunne dog ikke vurderes hos spædbørn, da de ikke kunne give udtryk for dem. Bivirkningerne antages at skyldes de injektioner i ryggraden, som anvendes til at give lægemidlet.

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Spinraza fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor blev Spinraza godkendt?

I sin vurdering erkendte Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP) sygdommens alvorlige karakter og det tvingende behov for effektiv behandling.

Det er påvist, at Spinraza fører til klinisk betydningsfuld bedring hos små børn med forskellige sværhedsgrader af sygdommen. Lægemidlet blev hverken afprøvet hos patienter med de sværeste eller letteste former for SMA, men forventes at give tilsvarende fordele for sådanne patienter.

Bivirkningerne blev anset for at kunne håndteres, da de for størstedelen skyldes den måde medicinen gives på.

CHMP konkluderede derfor, at fordelene ved Spinraza opvejer risiciene, og anbefalede, at det godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Spinraza?

Virksomheden, der markedsfører Spinraza, vil fuldføre igangværende undersøgelser af lægemidlets langsigtede sikkerhed og virkning hos patienter med symptomer på SMA og patienter, der endnu er symptomfrie.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Spinraza.

Andre oplysninger om Spinraza

Den fuldstændige EPAR for Spinraza findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Spinraza, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Sammendraget af udtalelsen fra Udvalget for Lægemidler til Sjældne Sygdomme om Spinraza findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).