

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

Zusammenfassung des EPAR für die Öffentlichkeit

Spinraza

Nusinersen

Dies ist eine Zusammenfassung des Europäischen Öffentlichen Beurteilungsberichts (EPAR) für Spinraza. Hierin wird erläutert, wie die Agentur das Arzneimittel beurteilt hat, um zu ihren Empfehlungen für die Zulassung des Arzneimittels in der EU und die Anwendungsbedingungen zu gelangen. Diese Zusammenfassung ist nicht als praktischer Rat zur Anwendung von Spinraza zu verstehen.

Wenn Sie als Patient praktische Informationen über Spinraza benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Was ist Spinraza und wofür wird es angewendet?

Spinraza ist ein Arzneimittel zur Behandlung der 5q-assoziierten spinalen Muskelatrophie (SMA), einer genetischen Erkrankung, die Muskelschwäche und Muskelschwund, einschließlich der Lungenmuskulatur, verursacht. Die Erkrankung ist auf einen Defekt des Chromosoms 5q zurückzuführen, und die Symptome treten in der Regel kurz nach der Geburt auf.

Da es nur wenige Patienten mit SMA gibt, gilt die Krankheit als selten, und Spinraza wurde am 2. April 2012 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen.

Spinraza enthält den Wirkstoff Nusinersen.

Wie wird Spinraza angewendet?

Spinraza ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich und die Behandlung sollte von einem in der Behandlung von SMA erfahrenen Arzt eingeleitet werden.

Das Arzneimittel ist als Injektionslösung in Durchstechflaschen zu je 12 mg erhältlich. Es wird von einem Arzt oder medizinischem Fachpersonal, die in der Durchführung dieses Eingriffs geschult sind, als intrathekale Injektion (in den unteren Rücken, direkt in die Wirbelsäule) verabreicht.



Gegebenenfalls ist die Sedierung des Patienten (Verabreichung eines Arzneimittels zur Beruhigung) vor der Verabreichung von Spinraza erforderlich.

Die empfohlene Dosis beträgt 12 mg pro Anwendung (eine Durchstechflasche), die so bald wie möglich, nachdem die SMA bei dem Patienten diagnostiziert wurde, verabreicht werden sollte. Auf die erste Dosis sollten 3 weitere Dosen nach 2, 4 und 9 Wochen folgen und dann im Anschluss daran eine Dosis alle 4 Monate. Die Behandlung sollte so lange fortgesetzt werden, wie der Patient daraus therapeutischen Nutzen zieht. Nähere Informationen sind der Packungsbeilage zu entnehmen.

Wie wirkt Spinraza?

Patienten mit SMA fehlt ein Eiweiß, das als „Survival Motor Neuron“ (SMN)-Protein bezeichnet wird und das für das Überleben und die normale Funktion von Motoneuronen (Nervenzellen aus dem Rückenmark, die Muskelbewegungen steuern) von zentraler Bedeutung ist. Das SMN-Protein besteht aus zwei Genen, SMN1 und SMN2. Patienten mit SMA fehlt das SMN1-Gen, während das SMN2-Gen vorhanden ist, wodurch in den meisten Fällen ein kurzes SMN-Protein entsteht, das nicht so gut funktioniert wie ein Protein voller Länge.

Spinraza ist ein synthetisches Antisense-Oligonukleotid (eine Art von genetischem Material), das das SMN2-Gen zur Produktion von Protein voller Länge befähigt, welches in der Lage ist, normal zu funktionieren. Dies ersetzt das fehlende Protein, wodurch die Symptome der Erkrankung gelindert werden.

Welchen Nutzen hat Spinraza in den Studien gezeigt?

Aus einer Hauptstudie, an der 121 Säuglinge mit SMA (mit einem Durchschnittsalter von 7 Monaten) teilnahmen, ging hervor, dass Spinraza im Vergleich zu Placebo (Scheininjektion) eine Verbesserung der Bewegung bewirkt.

Nach einjähriger Behandlung hatten 51 % der mit Spinraza behandelten Säuglinge (37 von 73) Fortschritte bei der Entwicklung von Kopfkontrolle, Rollen, Sitzen, Krabbeln, Stehen und Gehen gemacht, während ein ähnlicher Fortschritt bei keinem der mit Placebo behandelten Säuglinge festgestellt wurde. Darüber hinaus überlebten die meisten der mit Spinraza behandelten Säuglinge länger und benötigten eine Atemunterstützung später als die Säuglinge, denen Placebo verabreicht wurde.

Eine andere Studie zur Wirksamkeit von Spinraza bei Kindern, deren SMA weniger schwer war und zu einem späteren Zeitpunkt diagnostiziert wurde (Durchschnittsalter von 3 Jahren), ist noch nicht abgeschlossen. Die Ergebnisse der Zwischenauswertung entsprachen denen bei Säuglingen, deren Erkrankung zu einem früheren Zeitpunkt begonnen hatte.

Welche Risiken sind mit Spinraza verbunden?

Sehr häufige Nebenwirkungen von Spinraza (, die mehr als 1 von 10 Personen betreffen können,) sind Kopfschmerzen und Rückenschmerzen; diese Nebenwirkungen konnten jedoch bei Säuglingen nicht bewertet werden, da sie die Nebenwirkungen nicht kommunizieren konnten. Es wird davon ausgegangen, dass diese Nebenwirkungen von den Injektionen in die Wirbelsäule, mit denen das Arzneimittel verabreicht wird, verursacht werden.

Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Spinraza berichteten Nebenwirkungen und Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Warum wurde Spinraza zugelassen?

In seiner Beurteilung erkannte der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) die Schwere der Erkrankung und die dringende Notwendigkeit wirksamer Behandlungsmethoden an.

Es wurde gezeigt, dass Spinraza bei Kleinkindern mit unterschiedlichen Schweregraden der Erkrankung zu klinisch bedeutsamen Verbesserungen führt. Obwohl das Arzneimittel bei Patienten mit den schwersten und leichtesten SMA-Formen nicht untersucht wurde, ist damit zu rechnen, dass diese Patienten ähnliche Vorteile aus der Behandlung mit dem Arzneimittel ziehen.

Die Nebenwirkungen wurden als behandelbar betrachtet, wobei die meisten Nebenwirkungen im Zusammenhang mit der Art der Verabreichung des Arzneimittels stehen.

Daher gelangte der CHMP zu dem Schluss, dass der Nutzen von Spinraza gegenüber den Risiken überwiegt, und empfahl, es für die Anwendung in der EU zuzulassen.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Spinraza ergriffen?

Das Unternehmen, das Spinraza in den Verkehr bringt, wird die derzeit laufenden Studien zur langfristigen Sicherheit und Wirksamkeit des Arzneimittels bei Patienten, die Symptome einer SMA aufweisen und Patienten, die noch keine Symptome aufweisen, abschließen.

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Spinraza, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden auch in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Weitere Informationen über Spinraza

Den vollständigen Wortlaut des EPAR für Spinraza finden Sie auf der Website der Agentur: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Wenn Sie weitere Informationen zur Behandlung mit Spinraza benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage (ebenfalls Teil des EPAR) oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Die Zusammenfassung des Gutachtens des Ausschusses für Arzneimittel für seltene Leiden zu Spinraza finden Sie auf der Website der Agentur: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).