

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

## Resumen del EPAR para el público general

---

# Spinraza

## nusinersén

El presente documento resume el Informe Público Europeo de Evaluación (EPAR) para Spinraza. En él se explica cómo la Agencia ha evaluado el medicamento y ha emitido un dictamen favorable a la autorización de comercialización en la UE y sus condiciones de uso. No está destinado a proporcionar consejos prácticos sobre cómo utilizar Spinraza.

Para más información sobre el tratamiento con Spinraza, el paciente debe leer el prospecto (también incluido en el EPAR) o consultar a su médico o farmacéutico.

### ¿Qué es Spinraza y para qué se utiliza?

Spinraza es un medicamento que se utiliza para tratar la atrofia muscular espinal (AME) 5q, una enfermedad genética que provoca debilidad y deterioro de los músculos, incluso de los músculos de los pulmones. La enfermedad está relacionada con un defecto en el cromosoma 5q y los síntomas suelen aparecer poco después del nacimiento.

Dado que el número de pacientes afectados por la AME es escaso, esta enfermedad se considera «rara», por lo que Spinraza fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 2 de abril de 2012.

Spinraza contiene el principio activo nusinersén.

### ¿Cómo se usa Spinraza?

Spinraza solo se podrá dispensar con receta médica y debe iniciarlo un médico con experiencia en el tratamiento de la AME.

El medicamento se presenta en una solución inyectable en viales de 12 mg. Se administra mediante inyección intratecal (en la parte inferior de la espalda, directamente en la columna) por un médico o



una enfermera con experiencia en este procedimiento. El paciente puede necesitar sedación (un medicamento tranquilizante) antes de la administración de Spinraza.

La dosis recomendada es de 12 mg (un vial), administrado lo antes posible después del diagnóstico de AME. Después de la primera dosis, se deben administrar otras 3 dosis al cabo de 2, 4 y 9 semanas, y posteriormente una dosis más cada 4 meses. Se debe continuar con el tratamiento mientras resulte beneficioso para el paciente. Para más información, consulte el prospecto.

## **¿Cómo actúa Spinraza?**

Los pacientes con AME carecen de una proteína llamada «proteína de supervivencia de la neurona motora» (SMN), que es esencial para que las neuronas motoras (células nerviosas de la médula espinal que controlan los movimientos musculares) puedan sobrevivir y funcionar con normalidad. La proteína SMN se fabrica a partir de dos genes, SMN1 y SMN2. Los pacientes con AME carecen del gen SMN1, pero sí presentan el gen SMN2, que produce principalmente una proteína SMN corta que no funciona tan bien como una proteína de longitud completa.

Spinraza es un oligonucleótido antisentido sintético (un tipo de material genético) que permite al gen SMN2 producir la proteína de longitud completa, que puede funcionar con normalidad. De este modo, se repone la proteína faltante, con lo que se alivian los síntomas de la enfermedad.

## **¿Qué beneficios ha demostrado tener Spinraza en los estudios realizados?**

Un estudio principal, realizado en 121 lactantes (con una media de edad de 7 meses) con AME, demostró que Spinraza es eficaz para mejorar los movimientos en comparación con el placebo (inyección simulada).

Al cabo de un año de tratamiento, el 51 % de los lactantes tratados con Spinraza (37 de 73) mostraron cierta evolución en la capacidad para controlar la cabeza, girar, sentarse, gatear, sostenerse de pie y caminar, mientras que no se vio una evolución similar en ninguno de los niños que recibieron el placebo. Además, casi todos los niños tratados con Spinraza sobrevivieron más tiempo y necesitaron apoyo respiratorio más tarde que los tratados con el placebo.

Se está realizando otro estudio para evaluar la eficacia de Spinraza en los niños con AME menos grave y diagnosticada en una fase posterior (media de edad de 3 años). El análisis intermedio ha mostrado resultados que coinciden con los obtenidos en los niños con un comienzo anterior de la enfermedad.

## **¿Cuál es el riesgo asociado a Spinraza?**

Los efectos adversos más frecuentes de Spinraza (pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) son dolor de cabeza y dolor de espalda; no obstante, no fue posible evaluar estos efectos adversos en los lactantes, ya que no eran capaces de comunicarlos. Se cree que estos efectos adversos están provocados por las inyecciones en la columna usadas para administrar el medicamento.

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Spinraza se puede consultar en el prospecto.

## **¿Por qué se ha aprobado Spinraza?**

En su evaluación, el Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) reconoció la grave naturaleza de la enfermedad y la necesidad urgente de tratamientos eficaces.

Se ha demostrado que Spinraza logra mejorías clínicamente significativas en niños pequeños con diferentes grados de gravedad. Aunque el medicamento no se ha probado en pacientes con las formas más grave y más leve de AME, se espera que consiga beneficios similares en estos pacientes.

Los efectos adversos se consideraron controlables y la mayoría estuvieron relacionados con la forma de administración del medicamento.

El CHMP decidió, por tanto, que los beneficios de Spinraza son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

### **¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Spinraza?**

La compañía que comercializa Spinraza completará los estudios en curso de la seguridad y la eficacia del medicamento a largo plazo en pacientes que presentan síntomas de AME y pacientes que todavía no tienen síntomas.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Spinraza se han incluido también en la Ficha Técnica o Resumen de las Características del Producto y el Prospecto.

### **Otras informaciones sobre Spinraza**

El EPAR completo de Spinraza se puede consultar en la página web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Para mayor información sobre el tratamiento con Spinraza, lea el prospecto (también incluido en el EPAR) o consulte a su médico o farmacéutico.

El resumen del dictamen del Comité de Medicamentos Huérfanos sobre Spinraza se puede consultar en la página web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).