

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

## Kokkuvõte üldsusele

---

# Spinraza

## nusinerseen

See on ravimi Spinraza Euroopa avaliku hindamisaruande kokkuvõte. Selles selgitatakse, kuidas amet hindas ravimit, et soovitada müügiloa andmist Euroopa Liidus ja kasutustingimusi. Hindamisaruandes ei anta Spinraza kasutamise praktilisi nõuandeid.

Kui vajate Spinraza kasutamise praktilisi nõuandeid, lugege pakendi infolehte või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

## Mis on Spinraza ja milleks seda kasutatakse?

Spinraza on ravim, mida kasutatakse 5q spinaalse lihasatroofia raviks. Spinaalne lihasatroofia (SMA) on geneetiline haigus, mis põhjustab lihaste, sealhulgas hingamislihaste, nõrkust ja kõhetumist. Haigus on seotud defektiga 5. kromosoomi pikas õlas (5q) ja tavaliselt hakkavad sümptomid tekkima üsna pea pärast sündimist.

Et SMA-ga patsientide arv on väike ja see haigus esineb harva, nimetati Spinraza 2. aprillil 2012 harvikravimiks.

Spinraza sisaldab toimeainena nusinerseeni.

## Kuidas Spinrazat kasutatakse?

Spinraza on retseptiravim ja ravi tohib alustada SMA ravis kogenud arst.

Ravimit turustatakse süstelahusena 12 mg viaalides. Ravimit manustab selle protseduuri tegemises kogenud arst või õde intratekaalse süstena (alaselga, otse lülisambakanalisse). Enne Spinraza süstimist võib olla vajalik rahustava ravimi manustamine patsiendile (patsiendi sedateerimine).

Soovitav annus on 12 mg (üks viaal), mis tuleb manustada võimalikult kiiresti pärast SMA diagnoosimist patsiendil. Pärast esimese annuse manustamist tuleb manustada veel 3 annust vastavalt



2, 4 ja 9 nädalat hiljem ning seejärel tuleb jätkata ravimi manustamist ühe annuse kaupa iga 4 kuu järel. Ravi tuleb jätkata, kuni sellest on patsiendile kasu. Üksikasjalik teave on pakendi infolehel.

## **Kuidas Spinraza toimib?**

SMA-ga patsientidel puudub valk nimega „motoneuroni ellujäämise valk“ (SMN, survival (of) motor neuron), mis on motoneuronite (närvirakud seljaajus, mis reguleerivad lihaste liikumist) ellujäämiseks ja normaalseks funktsioneerimiseks hädavajalik. SMN-valku toodetakse kahe geeni põhjal – SMN1 ja SMN2. SMA-ga patsientidel puudub SMN1 geen, kuid neil on SMN2 geen, mille põhjal toodetakse valdavalt lühikest SMN-valku, mis ei toimi nii hästi kui täispikkuses valk.

Spinraza on sünteetiline antisenss oligonukleotiid (üks geneetilise materjali tüüp), mis võimaldab SMN2 geenil toota täispikkuses valku, mis toimiks normaalselt. See asendab puuduva valgu, leevendades seeläbi haiguse sümptomeid.

## **Milles seisneb uuringute põhjal Spinraza kasulikkus?**

Ühes põhiuuringus, kus osales 121 SMA-ga vastsündinut (kelle keskmine vanus oli 7 kuud), tõendati Spinraza efektiivsust liikumisvõime parandamisel võrreldes platseeboga (toimeaineta süstiga).

Üheaastase ravi järel täheldati 51% Spinrazat saanud lastest (37 lapsel 73st) arengut pea hoidmise, pööramise, istumise, roomamise, seismise ja kõndimise osas, samas kui sarnast arengut ei täheldatud ühelgi platseebot saanud lapsel. Peale selle elas enamik Spinrazaga ravitud vastsündinuid kauem ja vajadus hingamisaparaadi järele tekkis neil hiljem kui platseebot saanud vastsündinutel.

Praegu on käimas veel üks uuring, milles uuritakse Spinraza efektiivsust lastel, kellel on kergem SMA vorm ja kellel haigus on diagnoositud hiljem (keskmine vanus 3 aastat). Vaheanalüüsis on leitud tulemusi, mis ühtivad haiguse varasema algusega vastsündinutel saadud tulemustega.

## **Mis riskid Spinrazaga kaasnevad?**

Spinraza kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) on peavalu ja seljavalu. Vastsündinutel ei olnud võimalik neid kõrvalnähte hinnata, sest nad ei osanud veel end väljendada. Need kõrvalnähud arvatakse olevat tingitud ravimi manustamiseks kasutatavatest seljasüstidest.

Spinraza kohta teatatud kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

## **Miks Spinraza heaks kiideti?**

Oma hinnangus mõistis inimravimite komitee haiguse rasket olemust ja edasilükkamatut vajadust efektiivsete ravimeetodite järele.

Spinrazaga on tõestatud kliiniliselt tähendusliku paranemise saavutamine haiguse erinevate raskusastmetega väikelastel. Kuigi ravimit ei ole uuritud SMA kõige raskemate ja kõige kergemate vormidega patsientidel, eeldatakse siiski sarnaste kasulike toimete saavutamist ka nendel patsientidel.

Kõrvalnähte peeti sellisteks, millega on võimalik toime tulla, kusjuures enamik kõrvalnähte on seotud ravimi manustamisviisiga.

Inimravimite komitee otsustas, et Spinraza kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid, ja soovitas ravimi kasutamise Euroopa Liidus heaks kiita.

## Mis meetmed võetakse, et tagada Spinraza ohutu ja efektiivne kasutamine?

Spinrazat turustav ettevõtte viib lõpuni ravimi pikaajalise ohutuse ja efektiivsuse uuringud SMA sümptomitega ja veel ilma sümptomiteta patsientidel.

Spinraza ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on samuti lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

## Muu teave Spinraza kohta

Euroopa avaliku hindamisaruande täistekst Spinraza kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](https://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Kui vajate Spinrazaga toimuva ravi kohta lisateavet, lugege palun pakendi infolehte (mis on samuti Euroopa avaliku hindamisaruande osa) või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Harvikravimite komitee arvamuse kokkuvõte Spinraza kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](https://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).