

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

## Julkinen EPAR-yhteenveto

---

# Spinraza

## nusinerseeni

Tämä on yhteenveto Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee lääkevalmistetta nimeltä Spinraza. Tekstissä selitetään, miten virasto on arvioinut lääkevalmistetta ja päätynyt suosituksiin myyntiluvan myöntämisestä sille ja sen käytön ehdoista. Tekstin tarkoituksena ei ole antaa käytännön neuvoja Spinrazan käytöstä.

Potilas saa Spinrazan käyttöä koskevaa käytännön tietoa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

## Mitä Spinraza on ja mihin sitä käytetään?

Spinraza on lääke, jolla hoidetaan kromosomiin 5q liittyvää spinaalista lihasatrofiaa. Se on geneettinen sairaus, joka aiheuttaa lihasheikkoutta ja lihasten, myös keuhkojen lihasten, surkastumista. Sairaus liittyy vaurioon 5q-kromosomissa, ja oireet alkavat yleensä pian syntymän jälkeen.

Koska spinaalista lihasatrofiaa sairastavia potilaita on vähän, sairautta pidetään harvinaisena, minkä vuoksi Spinraza määriteltiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 2. huhtikuuta 2012.

Spinrazan vaikuttava aine on nusinerseeni.

## Miten Spinrazaa käytetään?

Spinrazaa saa ainoastaan lääkärin määräyksestä, ja hoidon saa aloittaa spinaalisen lihasatrofian hoitoon perehtynyt lääkäri.

Valmistetta on saatavana injektioliuoksena 12 mg:n ampulleissa. Sitä annetaan intratekaalisena injektiona (alaselästä suoraan selkäyttimeen), ja injektion antaa lääkäri tai sairaanhoitaja, jolla on kokemusta tämän toimenpiteen tekemisestä. Potilaalle voidaan joutua antamaan rauhoittavaa lääkettä ennen Spinrazan antamista.



Suositeltu annos on 12 mg (yksi ampulli), ja se tulee antaa mahdollisimman pian sen jälkeen, kun potilaalle on diagnosoitu spinaalinen lihasatrofia. Ensimmäisen annoksen jälkeen on annettava kolme lisäannosta kahden, neljän ja yhdeksän viikon kuluttua. Sen jälkeen annetaan yksi annos neljän kuukauden välein. Hoitoa on jatkettava niin kauan kuin potilas hyötyy siitä. Lisätietoja on pakkausselosteessa.

## **Miten Spinraza vaikuttaa?**

Spinaalista lihasatrofiaa sairastavilta potilailta puuttuu ns. survival motor neuron (SMN) -proteiini, joka on motoristen hermosolujen (lihasten liikkeitä hallitsevien, selkäytimessä olevien hermosolujen) eloonjäämisen ja normaalin toiminnan kannalta välttämätön. SMN-proteiini syntyy kahdesta geenistä, SMN1:stä ja SMN2:sta. Spinaalista lihasatrofiaa sairastavilta potilailta puuttuu SMN1-geeni, mutta heillä on SMN2-geeni. Se tuottaa pääasiassa lyhyttä SMN-proteiinia, joka ei toimi niin hyvin kuin täyspitkä proteiini.

Spinraza on synteettinen antisense-oligonukleotidi (erääntyyppinen geneettinen materiaali), jonka ansiosta SMN2-geeni voi tuottaa täyspitkää proteiinia, joka pystyy toimimaan normaalisti. Se korvaa puuttuvan proteiinin, jolloin sairauden oireet lievittyvät.

## **Mitä hyötyä Spinrazasta on havaittu tutkimuksissa?**

Yhdessä päätutkimuksessa, johon osallistui 121 spinaalista lihasatrofiaa sairastavaa vauvaa (ikä keskimäärin 7 kuukautta), osoitettiin, että Spinraza on tehokas liikuntakyvyn parantamisessa, kun sitä verrattiin lumelääkkeeseen (valeinjektioon).

Vuoden mittaisen hoidon jälkeen 51 prosentilla Spinrazaa saaneista vauvoista (37 vauvaa 73:sta) oli tapahtunut edistystä pään liikkeen hallinnassa, kääntymisessä, istumisessa, ryömisessä, seisomisessa ja kävelemissä. Vastaavaa kehitystä ei havaittu yhdelläkään lumelääkettä saaneista vauvoista. Lisäksi useimmat Spinrazaa saaneet vauvat elivät pidempään, ja he tarvitsivat hengityslaitetta myöhemmin kuin lumelääkettä saaneet vauvat.

Meneillään on toinen tutkimus, jossa Spinrazan tehoa arvioidaan lapsilla, joiden spinaalinen lihasatrofia oli lievempi ja diagnosoitu myöhemmin (keskimäärin kolmen vuoden iässä). Välianalyysien tulokset ovat johdonmukaiset niiden tulosten kanssa, jotka saatiin vauvoilta, joiden sairaus alkoi aikaisemmin.

## **Mitä riskejä Spinrazaan liittyy?**

Spinrazan yleisimmät sivuvaikutukset (joita voi esiintyä useammalla kuin yhdellä kymmenestä potilaasta) ovat päänsärky ja selkäkipu. Näitä sivuvaikutuksia ei kuitenkaan voitu arvioida vauvoilla, koska he eivät osaa kertoa niistä. Näiden sivuvaikutusten oletetaan johtuvan lääkkeen antotavasta eli injektioista selkäytimeen.

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Spinrazan ilmoitetusta sivuvaikutuksista ja rajoituksista.

## **Miksi Spinraza on hyväksytty?**

Lääkevalmistevalvontaan (CHMP) totesi arvioinnissaan, että sairaus on vakava ja että tehokkaita hoitoja tarvitaan kiireellisesti.

Spinrazan on osoitettu johtavan kliinisesti merkittävään tilanteen paranemiseen pienillä lapsilla, joiden sairauden vaikeusaste vaihtelee. Vaikka lääkettä ei testattu potilailla, joilla on spinaalisen lihasatrofian vaikein tai lievin muoto, siitä oletetaan olevan vastaavanlaista hyötyä myös näille potilaille.

Sivuvaikutusten katsottiin olevan hallittavissa, ja useimmat niistä liittyivät lääkkeen antotapaan.

Lääkevalmistekomitea katsoi, että Spinrazan hyöty on sen riskejä suurempi, ja suositteli myyntiluvan myöntämistä sille EU:ssa.

## **Miten voidaan varmistaa Spinrazan turvallinen ja tehokas käyttö?**

Spinrazaa markkinoiva yhtiö tekee loppuun meneillään olevat tutkimukset lääkkeen pitkäaikaisesta turvallisuudesta ja tehosta potilailla, joilla on spinaalisen lihasatrofian oireita ja joilla oireita ei vielä ole.

Suosituksien ja varotoimien, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Spinrazan käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

## **Muita tietoja Spinrazasta**

Spinrazaa koskeva EPAR-arviointilausunto on kokonaisuudessaan viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Lisätietoja Spinraza-hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), lääkäriltä tai apteekista.

Tiivistelmä harvinaislääkekomitean Spinrazaa koskevasta lausunnosta on viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).