

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

## Résumé EPAR à l'intention du public

---

# Spinraza

## nusinersen

Le présent document est un résumé du rapport européen public d'évaluation (EPAR) relatif à Spinraza. Il explique de quelle manière l'évaluation du médicament à laquelle l'Agence a procédé l'a conduite à recommander son autorisation au sein de l'UE ainsi que ses conditions d'utilisation. Il ne vise pas à fournir des conseils pratiques sur la façon d'utiliser Spinraza.

Pour obtenir des informations pratiques sur l'utilisation de Spinraza, les patients sont invités à lire la notice ou à contacter leur médecin ou leur pharmacien.

## Qu'est-ce que Spinraza et dans quel cas est-il utilisé?

Spinraza est un médicament utilisé pour le traitement de l'amyotrophie spinale 5q (SMA), une maladie génétique qui provoque une faiblesse et une fonte des muscles, y compris des muscles des poumons. La maladie est liée à un défaut sur le chromosome 5q et les symptômes débutent généralement peu après la naissance.

Étant donné le faible nombre de patients touchés par la SMA, cette maladie est dite «rare». C'est pourquoi Spinraza a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 2 avril 2012.

Spinraza contient le principe actif nusinersen.

## Comment Spinraza est-il utilisé?

Spinraza n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être instauré par un médecin expérimenté dans le traitement de la SMA.

Le médicament est disponible sous la forme d'une solution injectable dans des flacons de 12 mg. Il est administré par injection intrathécale (dans le bas du dos, directement dans la colonne vertébrale) par un médecin ou du personnel infirmier expérimenté dans la réalisation de cette intervention. Le patient

a parfois besoin d'être sédaté (on lui administre un médicament destiné à l'apaiser) avant de recevoir Spinraza.

La dose recommandée est de 12 mg (un flacon), administrée le plus tôt possible au patient une fois que le diagnostic de SMA a été posé. La première dose doit être suivie de 3 doses supplémentaires après 2, 4 et 9 semaines, et une dose est administrée ensuite tous les 4 mois. Le traitement doit se poursuivre aussi longtemps que le patient en tire un bénéfice. Pour plus d'informations, voir la notice.

## **Comment Spinraza agit-il?**

Les patients atteints de SMA manquent d'une protéine appelée SMN («survival motor neuron», c'est-à-dire protéine de survie des motoneurones), qui est essentielle à la survie et au fonctionnement normal des motoneurones (cellules nerveuses de la moelle épinière qui contrôlent les mouvements musculaires). La protéine SMN est fabriquée à partir de deux gènes, SMN1 et SMN2. Les patients atteints de SMA sont dépourvus du gène SMN1 mais possèdent le gène SMN2, qui produit principalement une protéine SMN courte qui ne fonctionne pas aussi bien qu'une protéine de pleine longueur.

Spinraza est un oligonucléotide antisens synthétique (un type de matériel génétique) qui permet au gène SMN2 de produire une protéine de pleine longueur, capable de fonctionner normalement. Celle-ci remplace la protéine manquante, atténuant ainsi les symptômes de la maladie.

## **Quels sont les bénéfices de Spinraza démontrés au cours des études?**

Une étude principale, incluant 121 bébés (âgés en moyenne de 7 mois) atteints de SMA, a montré que Spinraza est efficace pour améliorer le mouvement par rapport au placebo (injection simulée).

Après un an de traitement, 51 % des bébés recevant Spinraza (37 sur 73) ont fait des progrès dans les étapes du développement moteur contrôle de la tête, se retourner, s'asseoir, marcher à quatre pattes, se tenir debout et marcher, alors qu'aucun progrès similaire n'a été observé chez aucun des bébés ayant reçu le placebo. De plus, la plupart des bébés traités par Spinraza ont survécu plus longtemps et ont eu besoin d'une assistance respiratoire plus tard que ceux recevant le placebo.

Une autre étude est en cours pour évaluer l'efficacité de Spinraza chez les enfants dont la SMA était moins sévère et diagnostiquée à un stade ultérieur (âge moyen de 3 ans). Une analyse intermédiaire a fait état de résultats cohérents avec ceux obtenus chez les bébés pour qui la maladie avait commencé plus tôt.

## **Quels sont les risques associés à l'utilisation de Spinraza?**

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Spinraza (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont les suivants: maux de tête et douleurs dorsales; cependant, chez les bébés, ces effets indésirables n'ont pas pu être évalués, puisque les bébés n'ont pas pu en faire part. On pense que ces effets indésirables sont provoqués par les injections dans la colonne vertébrale utilisées pour administrer le médicament.

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Spinraza, voir la notice.

## **Pourquoi Spinraza est-il approuvé?**

Dans son évaluation, le comité des médicaments à usage humain (CHMP) a reconnu la gravité de la maladie et le besoin urgent de traitements efficaces.

Il a été démontré que Spinraza donnait lieu à des améliorations cliniquement pertinentes chez les jeunes enfants malades à différents degrés de gravité de la maladie. Bien que le médicament n'ait pas été testé chez les patients présentant les formes les plus sévères et les formes les plus légères de SMA, il devrait apporter des bénéfices similaires à ces patients.

Les effets indésirables ont été considérés comme gérables, la majorité des effets indésirables dépendant de la façon dont le médicament est administré.

Le CHMP a donc estimé que les bénéfices de Spinraza sont supérieurs à ses risques et a recommandé que l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE soit approuvée.

## **Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Spinraza?**

La société qui commercialise Spinraza terminera les études en cours sur l'efficacité et la sécurité à long terme du médicament chez les patients qui présentent déjà des symptômes de SMA et chez les patients qui ne présentent pas encore de symptômes.

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels des soins de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Spinraza ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

## **Autres informations relatives à Spinraza:**

L'EPAR complet relatif à Spinraza est disponible sur le site web de l'Agence, sous: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports). Pour plus d'informations sur le traitement par Spinraza, veuillez consulter la notice (également comprise dans l'EPAR) ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Le résumé de l'avis du comité des médicaments orphelins relatif à Spinraza est disponible sur le site web de l'Agence, sous: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation).