



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## **EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára**

---

# **Spinraza**

nuszinerszen

Ez a dokumentum a Spinraza-ra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az Ügynökségnek a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett az EU-ban érvényes forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és az alkalmazási feltételekre vonatkozó ajánlásaihoz. A dokumentum nem tekinthető gyakorlati útmutatónak a Spinraza alkalmazására vonatkozóan.

Amennyiben a Spinraza alkalmazásával kapcsolatban gyakorlati információra van szüksége, olvassa el a betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

## **Milyen típusú gyógyszer a Spinraza és milyen betegségek esetén alkalmazható?**

A Spinraza az 5q kromoszómához kötött, az izmok - beleértve a légzőizmok - gyengeségét és sorvadását okozó genetikai betegség, a spinális izomatrópia (SMA) kezelésére alkalmazott gyógyszer. A betegség az 5q kromoszóma hibájához köthető és a tünetek általában röviddel a születést követően jelentkeznek.

Mivel az SMA-ban szenvedő betegek száma alacsony, a betegség „ritkának” minősül, ezért a Spinraza-t 2012. április 2-án „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették.

A Spinraza hatóanyaga a nuszinerszen.

## **Hogyan kell alkalmazni a Spinraza-t?**

Az Spinraza csak receptre kapható, és a terápiát az SMA kezelésében jártas orvosnak kell megkezdenie.

A gyógyszer oldatos injekció formájában, 12 mg-os ampullában kapható. Beadása intrathecalis injekció (a derék területére, közvetlenül a gerincbe) formájában történik, az eljárás elvégzésében jártas orvos



vagy nővér által. A Spinraza alkalmazása előtt szükséges lehet a beteg szedálására (gyógyszer alkalmazása a beteg megnyugtatása céljából).

Az ajánlott adag 12 mg (egy ampulla), melyet az SMA diagnózisának felállítása után a lehető leghamarabb be kell adni. Az első adag után 2, 4 és 9 hét múlva további 3 adag, majd azután 4 havonta egy adag beadása szükséges. A kezelést addig kell folytatni, amíg az a beteg számára előnyös. További információ a betegtájékoztatóban található.

## **Hogyan fejti ki hatását a Spinraza?**

Az SMA-ban szenvedő betegeknél hiányzik a „túlélő motoros neuron” (SMN) nevű fehérje, mely alapvető a motoros neuronok (az izmok mozgását vezérlő gerincvelői idegsejtek) túlélése és megfelelő működése szempontjából. Az SMN fehérje két génből áll, melyek az SMN1 és az SMN2. Az SMA-ban szenvedő betegeknél az SMN1 gén hiányzik, de az SMN2 gén jelen van. Az SMN2 gén többnyire egy rövid SMN fehérjét termel, mely nem működik olyan jól, mint a teljes hosszúságú fehérje.

A Spinraza egy szintetikus antisense oligonukleotid (a genetikai anyag egy típusa), mely lehetővé teszi, hogy az SMN2 gén teljes hosszúságú, megfelelő működésre képes fehérjét termeljen. Helyettesíti a hiányzó fehérjét, ezáltal enyhíti a betegség tüneteit.

## **Milyen előnyei voltak a Spinraza alkalmazásának a vizsgálatok során?**

Egy, 121 SMA-ban szenvedő babát (átlagos életkor 7 hónap) bevonó fő vizsgálat során a Spinraza hatékonynak bizonyult, a mozgás javítása szempontjából, placebóval (ál-injekció) összehasonlítva.

Egy év kezelés után a Spinraza-t kapó babák 51%-a (73-ból 37) fejlődést mutatott a fejtartás, átfordulás, ülés, mászás, állás és járás tekintetében, míg a placebóval kezelt babák egyikénél sem figyeltek meg hasonló fejlődést. Továbbá, a Spinraza-val kezelt babák többségénél hosszabb túlélés és csak később jelentkező légzéstartamogatási igény volt jellemző, szemben a placebóval kezelttel.

Egy másik, a Spinraza hatékonyságát kevésbé súlyos és későbbi stádiumban diagnosztizált (átlagos életkor 3 év) SMA-ban szenvedő gyermekekkel végzett vizsgálat még folyamatban van. Az időközi elemzés eredményei megegyeznek azokkal az eredményekkel, melyeket olyan babák esetében kaptak, akiknél a betegség korábban kezdődött.

## **Milyen kockázatokkal jár a Spinraza alkalmazása?**

A Spinraza leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a fejfájás és a hátfájás; azonban babáknál ezen mellékhatások nem vizsgálhatóak, mivel ők nem tudják közölni ezeket. Véltetően ezeket a mellékhatásokat a gyógyszer alkalmazásakor a gerincbe adott injekciók okozzák.

A Spinraza alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

## **Miért engedélyezték a Spinraza forgalomba hozatalát?**

Az Ügynökséghez tartozó emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP) vizsgálata során elismerte a betegség súlyos jellegét és a hatékony kezelés sürgős igényét.

A Spinraza klinikailag jelentős javuláshoz vezetett, olyan fiatal gyermekeknél, akiknél a betegség súlyossága különböző szintű volt. Bár a gyógyszert az SMA legsúlyosabb és legenyhébb formáiban szenvedő betegeknél nem vizsgálták, várhatóan hasonló előnyöket nyújt ezen betegek esetében.

A mellékhatásokat kezelhetőnek tekintették. A legtöbb mellékhatás a gyógyszerbeadás módjával függött össze.

A CHMP ezért megállapította, hogy a Spinraza alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszer EU-ban való alkalmazásának jóváhagyását.

### **Milyen intézkedések vannak folyamatban a Spinraza biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?**

A Spinraza-t forgalmazó vállalat befejezi a már SMA tüneteit mutató és még tünetmentes betegekkel végzett, a gyógyszer hosszú távú biztonságosságára és hatékonyságára irányuló folyamatban lévő vizsgálatait.

Az Spinraza biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

### **A Spinraza-val kapcsolatos egyéb információ**

Az Spinraza-ra vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](https://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Amennyiben a Spinraza-val történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Spinraza-ra vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](https://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).