

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

Riassunto destinato al pubblico

Spinraza

nusinersen

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Spinraza. Illustra il modo in cui l'Agenzia ha valutato il medicinale arrivando a raccomandarne l'autorizzazione nell'UE e le condizioni d'uso. Non ha lo scopo di fornire consigli pratici sull'utilizzo di Spinraza.

Per informazioni pratiche sull'uso di Spinraza i pazienti devono leggere il foglio illustrativo oppure consultare il medico o il farmacista.

Che cos'è e per che cosa si usa Spinraza?

Spinraza è un medicinale utilizzato per trattare l'atrofia muscolare spinale (SMA) 5q, una malattia genetica che provoca debolezza e atrofia muscolare, anche dei muscoli polmonari. La malattia è associata ad un difetto del cromosoma 5q e i sintomi generalmente iniziano poco dopo la nascita.

Poiché il numero di pazienti affetti da SMA è basso, la malattia è considerata "rara" e Spinraza è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 2 aprile 2012.

Spinraza contiene il principio attivo nusinersen.

Come si usa Spinraza?

Spinraza può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere iniziato da un medico esperto nella gestione della SMA.

Il medicinale è disponibile come soluzione iniettabile in flaconcini da 12 mg. Viene somministrato mediante iniezione intratecale (nella zona lombare, direttamente nella spina dorsale) da un medico o un infermiere esperto nell'esecuzione di questa procedura. Può essere necessario sedare il paziente (somministrare un medicinale per calmarlo) prima di somministrare Spinraza.

La dose raccomandata è di 12 mg (un flaconcino) da somministrare non appena possibile, dopo che al paziente è stata diagnosticata la SMA. La prima dose deve essere seguita da altre 3 dosi, dopo 2, 4 e 9 settimane e successivamente da una dose ogni 4 settimane. Il trattamento deve proseguire fino a quando il paziente ne trae beneficio. Per ulteriori informazioni, vedere il foglio illustrativo.

Come agisce Spinraza?

I pazienti con SMA sono privi di una proteina detta “fattore di sopravvivenza dei motoneuroni” (SMN), che è essenziale per la sopravvivenza e il normale funzionamento dei motoneuroni (cellule nervose del midollo spinale che controllano i movimenti muscolari). La proteina SMN è prodotta da due geni, SMN1 e SMN2. I pazienti con SMA sono privi del gene SMN1 ma hanno il gene SMN2 che per lo più produce una proteina SMN corta che non funziona quanto una proteina a lunghezza completa.

Spinraza è un oligonucleotide antisenso (un tipo di materiale genetico) sintetico che consente al gene SMN2 di produrre la proteina a lunghezza completa, in grado di funzionare normalmente. Questo sostituisce la proteina mancante, alleviando così i sintomi della malattia.

Quali benefici di Spinraza sono stati evidenziati negli studi?

Uno studio principale, che ha coinvolto 121 neonati (di età media 7 mesi) con SMA, ha mostrato che Spinraza è efficace nel migliorare il movimento se confrontato con il placebo (iniezione fittizia).

Dopo un anno di trattamento, nel 51 % dei neonati a cui era stato somministrato Spinraza (37 su 73) si sono osservati progressi nello sviluppo del controllo della testa, nel rotolarsi, stare seduto, gattonare, alzarsi in piedi e camminare, mentre non è stato osservato alcun progresso simile nei neonati che avevano ricevuto il placebo. Inoltre, la maggior parte dei neonati trattati con Spinraza è sopravvissuta più a lungo e ha richiesto una respirazione assistita più tardi rispetto a coloro che avevano ricevuto il placebo.

Un altro studio è in corso per valutare l'efficacia di Spinraza in bambini con SMA meno grave e diagnosticata in una fase successiva (età media 3 anni). L'analisi ad interim ha mostrato risultati coerenti con quelli dei neonati nei quali la malattia ha avuto un esordio più precoce.

Quali sono i rischi associati a Spinraza?

Gli effetti indesiderati più comuni di Spinraza (che possono riguardare più di 1 persona su 10) sono cefalea e mal di schiena; tuttavia nei neonati questi effetti indesiderati non hanno potuto essere valutati in quanto essi non erano in grado di comunicarli. Si ritiene che questi effetti indesiderati siano causati dalle iniezioni nella spina dorsale effettuate per somministrare il medicinale.

Per l'elenco completo degli effetti indesiderati e delle limitazioni rilevati con Spinraza, vedere il foglio illustrativo.

Perché Spinraza è approvato?

Nella sua valutazione, il Comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) ha riconosciuto la natura grave della malattia e la necessità urgente di trattamenti efficaci.

Spinraza ha dimostrato di determinare miglioramenti clinicamente significativi in bambini piccoli con malattia in diversi gradi di gravità. Sebbene il medicinale non sia stato testato in pazienti che presentavano le forme più gravi e quelle più lievi di SMA, si prevede che fornisca benefici simili a questi pazienti.

Gli effetti indesiderati sono stati considerati come gestibili, in quanto la maggior parte di essi è correlata alla via di somministrazione del medicinale.

Pertanto, il CHMP ha deciso che i benefici di Spinraza sono superiori ai rischi e ha raccomandato che ne venisse approvato l'uso nell'UE.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Spinraza?

La ditta che commercializza Spinraza completerà gli studi in corso sulla sicurezza a lungo termine e sull'efficacia del medicinale in pazienti che presentano i sintomi della SMA e in pazienti che ancora non manifestano sintomi.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Spinraza sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Altre informazioni su Spinraza

Per la versione completa dell'EPAR di Spinraza consultare il sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Per maggiori informazioni sulla terapia con Spinraza, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Il riassunto del parere del comitato per i medicinali orfani relativo a Spinraza è disponibile sul sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).