

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

EPAR santrauka plačiajai visuomenei

Spinraza

nusinersenas

Šis dokumentas yra Spinraza Europos viešo vertinimo protokolo (EPAR) santrauka. Jame paaiškinama, kaip agentūra vertino vaistą, kad galėtų rekomenduoti leisti prekiauti šiuo vaistu ES ir nustatytų jo vartojimo sąlygas. Šiame dokumente nepateikta praktinės informacijos apie tai, kaip vartoti Spinraza.

Praktinės informacijos apie Spinraza vartojimą pacientai turėtų ieškoti pakuotės lapelyje arba kreiptis į savo gydytoją ar vaistininką.

Kas yra Spinraza ir kam jis vartojamas?

Spinraza – tai vaistas, kuriuo gydoma 5q spinalinė raumenų atrofija (SRA) – genetinė liga, kuri sukelia raumenų, įskaitant plaučių raumenis, susilpnėjimą ir raumenų masės mažėjimą. Ši liga siejama su chromosomos 5q defektu ir paprastai jos simptomai pasireiškia vos gimus.

Kadangi SRA sergančių pacientų nėra daug, ši liga laikoma reta, ir 2012 m. balandžio 2 d. Spinraza buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai.

Spinraza sudėtyje yra veikliosios medžiagos nusinerseno.

Kaip vartoti Spinraza?

Spinraza galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą šiuo vaistu turėtų pradėti gydytojas, turintis SRA gydymo patirties.

Vaistas tiekiamas 12 mg buteliukuose injekcinio tirpalo forma. Šis vaistas leidžiamas į povoratinklinę ertmę (apatinę nugaros dalį, tiesiai į stuburą), injekciją atlieka gydytojas arba slaugytojas, turintis šios procedūros taikymo patirties. Prieš švirkščiant Spinraza, pacientui gali tekti suleisti raminamųjų vaistų.

Rekomenduojama dozė yra 12 mg (vienas buteliukas); ją reikia suleisti vos tik diagnozuojama SRA. Suleidus pirmąją vaisto dozę, reikėtų suleisti dar tris dozes – praėjus 2, 4 ir 9 savaitėms, vėliau kas 4



mėnesius reikia leisti po vieną vaisto dozę. Gydytą reikėtų testuoti, kol jis yra naudingas pacientui. Daugiau informacijos pateikta pakuotės lapelyje.

Kaip veikia Spinraza?

SRA sergančių pacientų organizme nėra baltymo, vadinamo išgyvenamumo motoneurono (angl. *survival motor neuron*, SMN) baltymu, kuris būtinas tam, kad motoneuronai (stuburo smegenų nervų ląstelės, kurios kontroliuoja raumenų judesius) nežūtų ir normaliai funkcionuotų. SMN baltymas gaminamas dviejų genų, SMN1 ir SMN2. SRA sergantys pacientai neturi SMN1 geno, bet turi SMN2 geną, kuris daugiausia gamina sutrumpėjusį SMN baltymą; jis funkcionuoja ne taip gerai, kaip viso ilgio baltymas.

Spinraza yra sintetinis priešprasmis oligonukleotidas (tokia genetinė medžiaga), dėl kurio SMN2 genas gali gaminti viso ilgio baltymą, kuris geba normaliai funkcionuoti. Juo pakeičiamas trūkstamas baltymas ir taip palengvinami ligos simptomai.

Kokia Spinraza nauda nustatyta tyrimuose?

Atlikus vieną pagrindinį tyrimą, į kurį buvo įtrauktas 121 SRA sergantis kūdikis (jų amžiaus vidurkis – 7 mėnesiai), nustatyta, kad Spinraza yra veiksmingesnis už placebą (netikrą injekciją) siekiant pagerinti pacientų judėjimo funkciją.

Po vieno gydymo metų nustatyta, kad 51 proc. (37 iš 73) kūdikių, kurie buvo gydomi Spinraza, galvos valdymo, vartymosi, sėdėjimo, ropojimo, stovėjimo ir ėjimo funkcijų vystymasis pagerėjo, o kūdikių, kuriems buvo paskirtas placebo, grupėje panašios pažangos nenustatyta. Be to, dauguma Spinraza gydytų kūdikių išgyveno ilgiau ir jiems pagalbos kvėpuojant prireikė vėliau, nei tiems kūdikiams, kuriems buvo paskirtas placebo.

Šiuo metu atliekamas dar vienas tyrimas, kuriuo siekiama įvertinti Spinraza veiksmingumą vaikams, kurie serga lengvesnės formos SRA ir kuriems ši liga buvo diagnozuota vėlesniame etape (esant vidutiniškai 3 metų amžiaus). Tarpinės analizės rezultatai atitinka vaikų, kurių liga pasireiškė anksčiau, tyrimo rezultatus.

Kokia rizika siejama su Spinraza vartojimu?

Dažniausi Spinraza šalutiniai reiškiniai (galintys pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra galvos skausmas ir nugaros skausmas; tačiau įvertinti, ar šie šalutiniai reiškiniai pasireiškia kūdikiams, nebuvo galimybės, nes jie negalėjo apie tai pasakyti. Manoma, kad šiuos šalutinius reiškinius sukelia injekcijos į stuburą, kadangi būtent taip šis vaistas yra vartojamas.

Išsamų visų šalutinių reiškinių ir apribojimų vartojant Spinraza sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Kodėl Spinraza buvo patvirtintas?

Atlikdamas vertinimą, Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) pripažino, kad tai yra sunki liga ir kad būtina kuo greičiau rasti veiksmingą jos gydymo būdą.

Nustatyta, kad taikant gydymą Spinraza, įvairaus sunkumo liga sergantiems mažiems vaikams pasireiškia kliniškai reikšmingas sveikatos būklės pagerėjimas. Nors šis vaistas neišbandytas su pacientais, kurie serga sunkiausios ir lengviausios formos SRA, manoma, kad šiems pacientams šis vaistas turėtų panašų teigiamą poveikį.

Laikytasi nuomonės, kad šio vaisto sukeliamus šalutinius reiškinius galima kontroliuoti, kadangi dauguma jų susiję su tuo, kaip šis vaistas vartojamas.

Todėl CHMP nusprendė, kad Spinraza nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir rekomendavo leisti vartoti šį vaistą ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Spinraza vartojimą?

Spinraza prekiaujanti bendrovė užbaigs šiuo metu tebevykdomus šio vaisto ilgalaikio saugumo ir veiksmingumo tyrimus su pacientais, kuriems pasireiškia SRA simptomai ir kuriems šie simptomai dar nepasireiškia.

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Spinraza vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kita informacija apie Spinraza

Išsamų Spinraza EPAR rasite agentūros interneto svetainėje adresu: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Daugiau informacijos apie gydymą Spinraza rasite pakuotės lapelyje (taip pat EPAR dalis) arba teiraukitės savo gydytojo ar vaistininko.

Retųjų vaistinių preparatų komiteto nuomonės apie Spinraza santrauką rasite agentūros interneto svetainėje adresu: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).