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

Sommarju tal-EPAR għall-pubbliku

Spinraza

nusinersen

Dan huwa sommarju tar-rapport pubbliku Ewropew ta Dan valutazzjoni (EPAR) għa jispjega kif l-Aġenzija vvalutat il-mediċina biex tirrakkomanda l-awtorizzazzjoni tagħha fl-UE u l-kondizzjonijiet ta -użu tagħha. Dan mhux i Spinraza.

Għal informazzjoni prattika dwar l-użu ta 'Spinraza, il-pazjenti għandhom jaqraw il-fuljett ta ' tagħrif jew jikkuntattjaw lit-tabib jew lill-ispiżjar tagħhom.

X 'inhu Spinraza u għal xiex jintuża?

Spinraza hija mediċina li tintuża għall-kura ta -atrofija muskolari tas-sinsla (SMA, spinal muscular atrophy) 5q, marda ġenetika li tikkawża dgħufija u ħela tal-muskoli inkluż il-muskoli tal-pulmun. Il-marda hija marbuta ma -kromożoma 5q u s-sintomi normalment jibdew ftit wara t-twelid.

Peress li n-numru ta pazjenti milquta minn SMA huwa baxx, il-marda hija meqjusa bħala 'rari', u Spinraza ġiet ikklassifikata bħala 'medi 2 ta' April 2012.

Spinraza fih is-sustanza attiva nusinersen.

Kif jintuża Spinraza?

Spinraza jista' jinkiseb biss b riċetta ta' tabib u l-kura għandha tinbeda u tiġi ssorveljata minn tabib b -esperjenza fil SMA.

Il-mediċina tiġi bħala soluzzjoni għall-injezzjoni f kunjett ta' 12 ħata b 'i intratekali (fil-parti t isfel tad-dahar) direttament ġos-sinsla tad-dahar) minn tabib jew infermier b -esperjenza fit -proċeduri. Il-pazjent jista' jkun jeħtieġ li jingħata sedat (jingħata mediċina biex tikkalmah) qabel jingħata Spinraza.

30 Churchill Place ● Canary Wharf ● London E14 5EU ● United Kingdom
Telephone +44 (0)20 3660 6000 **Facsimile** +44 (0)20 3660 5555
Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union

© European Medicines Agency, 2017. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Id-doża rakkomandata hija ta' 12 mg (kunjett wieħed), li jingħata malajr kemm jista' jkun wara li l-pazjent ikun ġie dijanjostikat. Il-doża għandha tiġi segwita minn 3 dożi oħra wara 2, 4 u 9 ġimgħat, imbagħad doża waħda kull 4 xhur wara dan. Il-kura għandha tibqa' għaddejja sakemm il-pazjent jibbenefika minnha. Għal iktar informazzjoni, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Kif jaħdem Spinraza?

Il-pazjenti b'SMA għandhom p (motonewruni tas-sopravivenza), li hija essenzjali għall-motonewruni (ċelluli tan-nervituri mis-sinsla tad-dahar li jikkontrollaw il-movimenti tal-muskolu) biex jissopravivu u jiffunzjonaw b'mod normali. Il-proteina SMN hija magħmula minn żewġ ġeni, SMN1 u SMN2. Il-pazjenti b'SMA m' għand ġene SMN1 iżda għandhom il-ġene SMN2, li ħafna drabi jipproduċi proteina SMN qasira li ma taħdimx tajjeb daqs proteina ta' tul sħiħ.

Spinraza huwa antisense oligonucleotide sintetiku (tip ta' materjal ġenetiku) li j SMN2 jipprodu ċi proteina ta' tul sħiħ, li tkun tista' taħdem b'mod normali. Din ti proteina nieqsa, b'hekk tnaqqas is-sintomi tal-marda.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Spinraza li ħarġu mill-istudji?

Studju ewlieni wieħed, li involva 121 tarbija (ta' età medja ta' 7 xhur) b'SMA, wera li Spin huwa effettiv biex itejjeb il-moviment meta mqabbel mal-plaċebo (injezzjoni tal-plaċebo).

Wara sena ta' kura, 51% tat-trabi li rċivew Spinraza (37 minn 73) urew progress fl-iżvilupp tal-kontroll tar-ras, li jirrumblaw, li joqogħdu bilqiegħda, li jimxu fuq idejhom u rkopptejhom, li joqogħdu bilwieqfa u li jimxu, waqt li ma deher l-ebda progress simili fi kwalunkwe waħda mit-trabi li rċivew il-plaċebo. Barra minn hekk, ħafna mit-trabi kkurati bi Spinraza damu ħajjin għal żmien itwal u kellhom bżonn ta' appoġġ għat-teħid tan-nifs aktar tard minn dawk li ngħataw il-plaċebo.

Għaddej studju ieħor biex jivvaluta l-effettività ta' Spinraza f'forom ta' SMA li huma inqas severa u li jibdew aktar tard (età medja ta' ... snin). Analiżi interim tal-istudju wriet riżultati konsistenti ma' dawk tat-trabi li fihom il-marda bdiet aktar kmieni.

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Spinraza?

L-effetti sekondarji l-aktar komuni bi Spinraza (li jistgħu jaffettwaw aktar minn 1 minn kull 10) huma w... ġiegħ ta' ras; madankollu fit-trabi dawn l-effetti sekondarji ma setgħux jiġu vvalutati, peress li ma setgħux juruhom. Dawn l-effetti sekondarji huma maħsuba li jiġu kkawżati mill-injezzjonijiet fis-sinsla tad-dahar li jintużaw biex tingħata l-mediċina.

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet kollha rrappurtati bi Spinraza, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Għaliex ġie approvat Spinraza?

Fil-valutazzjoni tiegħu, il-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali għall-Użu mill-Bniedem (CHMP) irrikonoxxa n-natura serja tal-marda u l-ħtieġa urġenti għal kuri effettivi.

Spinraza ntwera li jwassal għal titjib klinikament sinifikanti fi tfal żgħar bi gradi tas-severità tal-marda li jvarjaw. Għalkemm il-mediċina ma ġietx ittestjata f'pazjenti bl-ħfief ta' huwa mistenni li tipprovdi benefiċċji simili lil dawn il-pazjenti.

L-effetti sekondarji ġeneralment kienu ħfief u ... l-effetti sekondarji li huma relatati mal-mod kif tingħata l-mediċina.

Għalhekk, is-CHMP iddeċieda li l-benefiċċji ta' Spinraza huma akbar mir-riskji tiegħu u rrakkomanda li jkun approvat għall-użu fl-UE.

X' biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta Spinraza?

Il-kumpanija li tqiegħed Spinraza fis-suq se tkompli studji li għadhom għaddejjin dwar is-sigurtà u l-effettività fit-tul tal-mediċina f'pazjenti li mhumiex juru sintomi.

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi wkoll ir-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Spinraza.

Informazzjoni oħra dwar Spinraza

L-EPAR sħiħ għal Spinraza jinstab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports. Għal aktar informazzjoni rigward il-kura bi Spinraza, aqra l-fuljett ta' tagħrif (parti wkoll tal-EPAR) jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispiżjar tiegħek.

Is-sommarju tal-opinjoni tal-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali Orfni għal Spinraza jinstab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation.