

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

Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

Spinraza

nusinersen

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego leku Spinraza. Wyjaśnia, jak Agencja oceniła lek w celu przyjęcia zaleceń w sprawie przyznania pozwolenia na dopuszczenie produktu do obrotu w UE oraz warunków jego stosowania. Jego celem nie jest zapewnienie praktycznej porady dotyczącej stosowania leku Spinraza.

W celu uzyskania praktycznych informacji na temat stosowania leku Spinraza należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Co to jest produkt Spinraza i w jakim celu się go stosuje?

Spinraza jest lekiem stosowanym do leczenia rdzeniowego zaniku mięśni 5q (SMA), choroby genetycznej powodującej osłabienie i zanik mięśni, w tym mięśni płuc. Choroba ma związek z defektem na chromosomie 5q i jej objawy pojawiają się zwykle niedługo po urodzeniu.

Ze względu na małą liczbę pacjentów z SMA choroba ta jest uważana za rzadko występującą, zatem w dniu 2 kwietnia 2012 r. produkt Spinraza uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach).

Produkt Spinraza zawiera substancję czynną nusinersen.

Jak stosować produkt Spinraza?

Lek Spinraza wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza, a leczenie powinien rozpoczynać lekarz z doświadczeniem w leczeniu SMA.

Lek jest dostępny w postaci roztworu do wstrzykiwań w fiolkach 12 mg. Jest podawany w postaci wstrzyknięć dooponowych (w dolną część pleców, bezpośrednio do kręgosłupa) przez lekarza lub pielęgniarkę z doświadczeniem w wykonywaniu takich zabiegów. Przed podaniem leku Spinraza może być konieczna sedacja pacjenta (podanie środka uspokajającego).

Zalecana dawka wynosi 12 mg (jedna fiolka), podawana możliwie jak najwcześniej po rozpoznaniu SMA u pacjenta. Po pierwszej dawce należy podać 3 kolejne dawki po upływie 2, 4 i 9 tygodni, a następnie jedną dawkę raz na 4 miesiące. Leczenie należy kontynuować tak długo, jak długo pacjent odnosi z niego korzyści. Więcej informacji znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Jak działa produkt Spinraza?

U pacjentów z SMA występuje niedobór białka zwanego „białkiem życia neuronów ruchowych” (SMN, *survival motor neuron*), które ma zasadnicze znaczenie dla neuronów ruchowych (komórek nerwowych w rdzeniu kręgowym, które kontrolują ruchy mięśni) dla ich prawidłowego przeżycia i funkcjonowania. Białko SMN jest utworzone z dwóch genów - SMN1 i SMN2. U pacjentów z SMA nie występuje gen SMN1, ale obecny jest gen SMN2 produkujący głównie krótkie białko SMN, które nie działa tak dobrze jak białko o pełnej długości.

Spinraza jest syntetycznym oligonukleotydem antysensownym (rodzaj materiału genetycznego) umożliwiającym wytwarzanie przez gen SMN2 białka o pełnej długości, które może prawidłowo działać. Zastępuje ono brakujące białko, łagodząc w ten sposób objawy choroby.

Jakie korzyści ze stosowania produktu Spinraza zaobserwowano w badaniach?

W jednym badaniu głównym z udziałem 121 niemowląt (średnia wieku 7 miesięcy) z SMA udowodniono, że lek Spinraza skutecznie poprawia poruszanie się w porównaniu z placebo (lek pozorowany).

Po jednym roku leczenia u 51% niemowląt otrzymujących lek Spinraza (37 z 73) stwierdzono postęp w rozwoju umiejętności kontroli głowy, przetaczaniu, siedzeniu, pełzaniu, staniu i chodzeniu, natomiast podobnego postępu nie zaobserwowano u żadnego z niemowląt otrzymujących placebo. Ponadto większość niemowląt leczonych produktem Spinraza dłużej przeżywała i wymagała wspomagania oddychania później niż dzieci przyjmujące placebo.

Prowadzone jest kolejne badanie w celu oceny skuteczności leku Spinraza u dzieci z mniej ciężką postacią SMA i rozpoznaniem choroby na późniejszym etapie (średnia wieku 3 lata). Analiza okresowa wykazała wyniki zgodne z wynikami u niemowląt, u których choroba rozpoczęła się wcześniej.

Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem produktu Spinraza?

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Spinraza (mogące wystąpić u więcej niż 1 osoby na 10) to ból głowy i ból pleców; jednak u niemowląt nie można ocenić tych działań niepożądanych ze względu na brak możliwości komunikacji. Uważa się, że te działania niepożądane są wywołane przez wstrzyknięcia do kręgosłupa w celu podania leku.

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Spinraza znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Na jakiej podstawie zatwierdza się produkt Spinraza?

W swojej ocenie Komitet ds. Produktów Lekniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) uznał poważny charakter choroby i pilne zapotrzebowanie na skuteczne metody leczenia.

Udowodniono, że lek Spinraza prowadzi do istotnej klinicznie poprawy u małych dzieci o różnym stopniu nasilenia choroby. Pomimo że leku nie badano u pacjentów z najcięższą i najłagodniejszą postacią SMA przewiduje się, że u tych pacjentów przyniesie on podobne korzyści.

Działania niepożądane uznano za możliwe do opanowania, przy czym większość działań niepożądanych była związana ze sposobem podania leku.

W związku z tym CHMP uznał, że korzyści płynące ze stosowania produktu Spinraza przewyższają ryzyko, i zalecił przyznanie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE.

Jakie środki są podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania produktu Spinraza?

Firma, która wprowadza lek Spinraza do obrotu, ukończy prowadzone badania dotyczące długoterminowego bezpieczeństwa i skuteczności leku u pacjentów wykazujących objawy SMA i u pacjentów, którzy jeszcze nie wykazują objawów.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Spinraza w charakterystyce produktu leczniczego i ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Inne informacje dotyczące produktu Spinraza

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące produktu Spinraza znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Spinraza należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Streszczenie opinii Komitetu ds. Sierocych Produktów Leczniczych dotyczącej produktu Spinraza znajduje się na stronie internetowej Agencji: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).