

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

Súhrn správy EPAR pre verejnosť

Spinraza

nusinersen

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Spinraza. Vysvetľuje, akým spôsobom agentúra vyhodnotila liek s cieľom odporučiť jeho povolenie na uvedenie na trh v EÚ a podmienky jeho používania. Účelom tohto dokumentu nie je poskytnúť praktické rady o tom, ako používať liek Spinraza.

Ak pacienti potrebujú praktické informácie o používaní lieku Spinraza, nájdu ich v písomnej informácii pre používateľa alebo sa môžu obrátiť na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnika.

Čo je liek Spinraza a na čo sa používa?

Spinraza je liek, ktorý sa používa na liečbu 5q spinálnej svalovej atrofie (spinal muscular atrophy, SMA), genetického ochorenia, ktoré spôsobuje slabosť a úbytok svalov vrátane pľúcnych svalov. Toto ochorenie sa spája s defektom na chromozóme 5q, pričom príznaky sa obvyčajne začnú prejavovať krátko po narodení.

Keďže je počet pacientov s SMA nízky, ochorenie sa považuje za zriedkavé, a preto bol liek Spinraza 2. apríla 2012 označený za liek na ojedinelé ochorenia.

Liek Spinraza obsahuje účinnú látku nusinersen.

Ako sa liek Spinraza používa?

Výdaj lieku Spinraza je viazaný na lekársky predpis a na liečbu má dohliadať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou SMA.

Je dostupný vo forme injekčného roztoku v liekovkách s objemom 12 mg. Podáva ho lekár alebo zdravotná sestra so skúsenosťami s vykonávaním tohto zákroku vo forme intratekálnej injekcie (do dolnej časti chrbta, priamo do miechy). Pred podaním lieku Spinraza môže pacient potrebovať sedáciu (môže sa mu podať liek na uvoľnenie).



Odporúčaná dávka je 12 mg (jedna liekovka), podaná čo najskôr po diagnostikovaní SMA u pacienta. Po prvej dávke majú nasledovať ďalšie 3 dávky po 2, 4 a 9 týždňoch a následne jedna dávka každé 4 mesiace. Liečba má pokračovať dovtedy, kým je pre pacienta prínosom. Viac informácií sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Ako liek Spinraza účinkuje?

Pacienti s SMA majú nedostatok proteínu nazývaného „survival motor neuron“ (SMN), ktorý je nevyhnutný na prežívanie a normálne fungovanie motorických neurónov (nervových buniek miechy, ktoré ovládajú pohyb svalov). Proteín SMN sa skladá z dvoch génov - SMN1 a SMN2. Pacienti s SMA majú nedostatok génu SMN1, ale majú gén SMN2, ktorý väčšinou vytvára krátky proteín SMN, ktorý nefunguje tak dobre ako proteín plnej dĺžky.

Liek Spinraza je syntetický antisense oligonukleotid (druh genetického materiálu), ktorý umožňuje génu SMN2 vytvárať proteín plnej dĺžky, ktorý je schopný normálne fungovať. Tento proteín nahradí chýbajúci proteín, čím zmierni príznaky ochorenia.

Aké prínosy lieku Spinraza boli preukázané v štúdiách?

Na základe jednej hlavnej štúdie, do ktorej bolo zaradených 121 detí (s vekovým priemerom 7 mesiacov) s SMA, sa preukázalo, že liek Spinraza je účinný pri zlepšovaní pohybu v porovnaní s placebom (predstieranou injekciou).

Po jednom roku liečby sa u 51 % detí, ktoré dostávali liek Spinraza (37 zo 73), preukázal progres pri držaní hlavy, prevaľovaní sa, sedení, lezení, stojí alebo chôdzi, kým u detí, ktoré dostávali placebo, nebol žiadny podobný progres pozorovaný. Väčšina detí liečených liekom Spinraza navyše žila dlhšie a potrebovala podporu dýchania neskôr ako deti, ktoré dostávali placebo.

Ďalšia štúdia práve prebieha a jej cieľom je posúdiť účinok lieku Spinraza u detí s menej závažnou SMA, ktorá bola diagnostikovaná v neskoršej fáze (priemerný vek 3 roky). Predbežnou analýzou sa preukázalo, že výsledky sú konzistentné s výsledkami u detí, u ktorých ochorenie prepuklo skôr.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Spinraza?

Medzi veľmi časté vedľajšie účinky lieku Spinraza (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 z 10 ľudí) patrí bolesť hlavy a chrbta. U detí sa však tieto vedľajšie účinky nemohli posúdiť, keďže o nich nevedeli povedať. Predpokladá sa, že tieto vedľajšie účinky boli spôsobené injekciami na podanie lieku do miechy.

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Spinraza a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Spinraza povolený?

Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) vo svojom posudku uznal závažný charakter ochorenia a bezodkladnú potrebu účinnej liečby.

Preukázalo sa, že liek Spinraza vedie ku klinicky významným zlepšeniam u malých detí s rôznymi stupňami závažnosti ochorenia. Hoci liek nebol skúšaný u pacientov s najzávažnejšou a najmiernejšou formou SMA, očakáva sa, že pre týchto pacientov bude rovnakým prínosom.

Vedľajšie účinky sa považovali za zvládnuteľné, pričom väčšina vedľajších účinkov súvisí so spôsobom podania lieku.

Výbor preto rozhodol, že prínosy lieku Spinraza sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním, a odporučil udeliť povolenie na jeho používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Spinraza?

Spoločnosť, ktorá uvádza liek Spinraza na trh, dokončí prebiehajúce štúdie o dlhodobej bezpečnosti a účinnosti lieku u pacientov, ktorí vykazujú príznaky SMA, a u pacientov, ktorí doposiaľ nevykazujú príznaky.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Spinraza boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú dodržiavať zdravotnícki pracovníci a pacienti.

Ďalšie informácie o lieku Spinraza

Úplné znenie správy EPAR o lieku Spinraza je uvedené na webovej stránke agentúry EMA: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Ak potrebujete ďalšie informácie o liečbe liekom Spinraza, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľa (súčasť správy EPAR) alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnika.

Súhrn stanoviska Výboru pre lieky na ojedinelé ochorenia k lieku Spinraza je uvedený na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).