

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

## **Sammanfattning av EPAR för allmänheten**

---

# Spinraza

## nusinersen

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Spinraza. Det förklarar hur EMA bedömt läkemedlet för att rekommendera godkännande i EU och villkoren för att använda det. Syftet är inte att ge några praktiska råd om hur Spinraza ska användas.

Praktisk information om hur Spinraza ska användas finns i bipacksedeln. Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

## **Vad är Spinraza och vad används det för?**

Spinraza är ett läkemedel som används för att behandla spinal muskelatrofi av typ 5q (SMA), en genetisk sjukdom som leder till försvagade och förtvinade muskler, inräknat lungmuskulaturen. Sjukdomen är förknippad med en defekt på kromosom 5q och symtomen startar vanligtvis strax efter födelsen.

Eftersom antalet patienter med SMA är litet betraktas sjukdomen som sällsynt och Spinraza klassificerades som sär-läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 2 april 2012.

Spinraza innehåller den aktiva substansen nusinersen.

## **Hur används Spinraza?**

Spinraza är receptbelagt och behandling ska inledas av en läkare med erfarenhet av att behandla SMA.

Läkemedlet finns som en injektionsvätska, lösning i 12 mg injektionsflaskor. Det ges genom intratekal injektion (i nedre delen av ryggen, direkt i ryggraden) av en läkare eller sjuksköterska med vana av att utföra detta förfarande. Patienten kan behöva vara sederad (få ett läkemedel som lugnar dem) innan de får Spinraza.





Den rekommenderade dosen är 12 mg (en injektionsflaska), som ges snarast möjligt efter det att patienten fått diagnosen SMA. Den första dosen ska följas av 3 ytterligare doser efter 2, 4, och 9 veckor och sedan av en dos var fjärde månad efter detta. Behandlingen ska fortsätta så länge patienten har nytta av den. Mer information finns i bipacksedeln.

## Hur verkar Spinraza?

Patienter med SMA saknar ett protein som kallas överlevnadsmotorneuron-protein (SMN-protein, av "survival motor neuron"), som behövs för att motorneuronen (nervceller i ryggmärgen som styr musklernas rörelser) ska överleva och fungera normalt. SMN-proteinet produceras av två gener, SMN1 and SMN2. Patienter med SMA saknar SMN1-genen men har SMN2-genen, som främst producerar ett kort SMN-protein som inte fungerar lika bra som ett fullängdsprotein.

Spinraza är en syntetisk antisens-oligonukleotid (ett slags genetiskt material) som gör att SMN2-genen kan producera fullängdsprotein som förmår fungera normalt. Detta ersätter det saknade proteinet, vilket gör att symtomen på sjukdomen lindras.

## Vilken nytta med Spinraza har visats i studierna?

En huvudstudie på 121 spädbarn (med en genomsnittlig ålder på 7 månader) med SMA visade att Spinraza är effektivt när det gäller att förbättra rörelseförmågan jämfört med placebo (overksam injektion).

Efter ett års behandling uppvisade 51 procent av spädbarnen som fick Spinraza (37 av 73) framsteg i utvecklingen av huvudkontroll, att rulla, sitta, krypa, stå och gå, medan ingen liknande utveckling sågs hos något av spädbarnen som fick placebo. De flesta spädbarn som behandlades med Spinraza överlevde dessutom längre och behövde andningshjälp senare än de som fick placebo.

En annan, pågående studie ska bedöma Spinrazas effekt hos barn vars SMA är mindre allvarlig och som fått diagnosen i ett senare skede (i genomsnitt i 3-årsåldern). En interimsanalys har visat på resultat som överensstämmer med dem hos de spädbarn där sjukdomen startade tidigare.

## Vilka är riskerna med Spinraza?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Spinraza (kan uppträda hos fler än 1 av 10 personer) är huvudvärk och ryggsmärta, vilket dock inte kunde bedömas hos spädbarn eftersom de inte kunde förmedla dessa biverkningar. Man tror att dessa biverkningar orsakas av injektionerna i ryggraden som används för att ge läkemedlet.

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Spinraza finns i bipacksedeln.

## Varför godkänns Spinraza?

I sin bedömning fann Europeiska läkemedelsmyndighetens kommitté för humanläkemedel (CHMP) att sjukdomen är mycket allvarlig och att effektiva behandlingar omedelbart måste sättas in.

Spinraza har visat sig leda till kliniskt betydelsefulla förbättringar hos småbarn med olika svårighetsgrad av sjukdomen. Även om läkemedlet inte testades på patienter med de allvarligaste och lindrigaste formerna av SMA, förväntas det vara av liknande nytta för dessa patienter.

Biverkningarna ansågs hanterbara; de flesta av dem är förknippade med hur läkemedlet ges.

CHMP fann därför att nyttan med Spinraza är större än riskerna och rekommenderade att Spinraza skulle godkännas för försäljning i EU.



## Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Spinraza?

Företaget som marknadsför Spinraza kommer att avsluta pågående studier av läkemedlets långsiktiga säkerhet och effekt hos patienter som uppvisar symtom på SMA och patienter som ännu inte uppvisar symtom.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Spinraza har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

## Mer information om Spinraza

EPAR för Spinraza finns i sin helhet på EMA:s webbplats [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Mer information om behandling med Spinraza finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Sammanfattningen av ställningstagandet om Spinraza från kommittén för sär läkemedel finns på EMA:s webbplats [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).