



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/59031/2026
EMA/H/C/004312

Spinraza (*nusinersen*)

Общ преглед на Spinraza и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Spinraza и за какво се използва?

Spinraza е лекарство, което се използва за лечение на 5q спинална мускулна атрофия (СМА), генетично заболяване, което причинява слабост и изтощаване на мускулите, в това число на белодробните мускули. Заболяването е свързано с дефект на хромозомата 5q и симптомите обикновено се проявяват скоро след раждане.

СМА се счита за рядко заболяване и Spinraza е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 2 април 2012 г. Допълнителна информация за лекарствата сираци можете да намерите на [уебсайта на ЕМА](#).

Spinraza съдържа активното вещество нусинерсен (*nusinersen*).

Как се използва Spinraza?

Spinraza се отпуска по лекарско предписание и лечението трябва да се започне от лекар с опит в лечението на СМА.

Предлага се под формата на инжекционен разтвор. То се прилага чрез интратекална инжекция (в долната част на гърба, директно в гръбнака) от лекар или медицинска сестра с опит за извършването на тази процедура. Възможно е да се наложи пациентът да бъде седиран (да му се даде лекарство за успокояване) преди прилагане на Spinraza.

Spinraza трябва да се прилага възможно най-скоро след диагностицирането на пациента със СМА. Лечението трябва да продължи, докато пациентът се повлиява положително.

За повече информация относно употребата на Spinraza вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

Как действа Spinraza?

При пациенти със СМА липсва белтък, наречен белтък за преживяемост на двигателния неврон (SMN), който е необходим за оцеляването и нормалното функциониране на двигателните неврони (нервни клетки в гръбначния стълб, които контролират движенията на мускулите). Белтъкът SMN

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



се синтезира от два гена, SMN1 и SMN2. При пациенти със СМА липсва генът SMN1, но е налице генът SMN2, който произвежда предимно къс SMN белтък, който не работи така добре, както белтъкът с пълна дължина.

Spinraza е синтетичен антисенс олигонуклеотид (вид генетичен материал), който позволява на гена SMN2 да произвежда белтък с пълна дължина, който е в състояние да работи нормално. Той заменя липсващия белтък и по този начин облекчава симптомите на заболяването.

Какви ползи от Spinraza са установени в проучванията?

В едно основно проучване, обхващащо 121 бебета (на средна възраст 7 месеца) със СМА, е показано, че Spinraza е ефективен за подобряване на движението в сравнение с плацебо (псевдоинжекция).

След едногодишно лечение 51 % от бебетата, които получават Spinraza (37 от 73), показват прогрес в развитието на контрол на главата, поклащане, седене, пълзене, стоене и ходене, докато подобен прогрес не се наблюдава при нито едно от бебетата, получаващи плацебо. Освен това повечето бебета, лекувани със Spinraza, преживяват по-дълго време и се нуждаят от помощ за дишане на по-късен етап, отколкото тези, които получават плацебо.

В друго проучване е оценена ефективността на Spinraza при деца, чиято СМА не е толкова тежка и е диагностицирана на по-късен етап (на средна възраст 3 години). След 15 месеца от лечението 57 % от приемащите Spinraza деца имат подобрение в движенията, сравнено с 27 % при децата на плацебо.

Проучванията, проведени със Spinraza, са описани по-подробно в докладите за оценка на лекарството.

Какви са нежеланите реакции и ограниченията при Spinraza?

За пълния списък на всички нежелани лекарствени реакции и ограничения, съобщени при Spinraza, вижте листовката.

Най-честите нежелани реакции при Spinraza (които може да засегнат повече от 1 на 10 души) са главоболие, болка в гърба и повръщане. Смята се, че тези нежелани реакции се причиняват от инжекциите в гръбнака, които се използват за прилагане на лекарството. При бебета не е възможно да се оценят някои от нежеланите реакции, тъй като те не са в състояние да ги опишат.

Защо Spinraza е разрешен за употреба в ЕС?

В оценката си Европейска агенция по лекарствата признава сериозното естество на заболяването и спешната нужда от ефективни лечения.

Доказано е, че Spinraza води до клинично значими подобрения при малки деца с различни степени на тежест на заболяването. Въпреки че лекарството не е изпитвано при пациенти с най-тежката и най-леката форма на СМА, очаква се то да осигури същите ползи за тези пациенти.

Нежеланите лекарствени реакции се считат за управляеми, като повечето нежелани лекарствени реакции са свързани с начина на прилагане на лекарството.

Следователно Агенцията реши, че ползите от Spinraza са по-големи от рисковете, и препоръча Spinraza да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Spinraza?

Фирмата, която предлага Spinraza, ще завърши и представи резултатите от текущо проучване за дългосрочната безопасност и ефективност на лекарството при пациенти, които все още не показват симптоми на СМА.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Spinraza, които да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Spinraza непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Spinraza, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Spinraza:

Spinraza получава разрешение за употреба, валидно в ЕС, на 30 май 2017 г.

Допълнителна информация за Spinraza, включително листовката и оценъчния доклад, можете да се намери на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/spinraza.

За информация относно предлагането на това лекарство във вашата страна се свържете с вашия [национален компетентен орган](#).

Дата на последно актуализиране на текста 03-2026.