



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Spinraza (*nusinersen*)

Přehled pro přípravek Spinraza ve srozumitelném jazyce a proč byl přípravek registrován v EU

Co je Spinraza a k čemu se používá?

Spinraza je léčivý přípravek, který se používá k léčbě spinální svalové atrofie (SMA) vázané na dlouhé raménko 5. chromozomu (5q), což je genetické onemocnění, které způsobuje slabost a úbytek svalů včetně dýchacích svalů. Onemocnění je spojeno s defektem na dlouhém raménku 5. chromozomu a symptomy obvykle začínají záhy po narození.

Spinální svalová atrofie je vzácné onemocnění a přípravek Spinraza byl označen dne 2. dubna 2012 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na [internetových stránkách agentury EMA](#).

Přípravek Spinraza obsahuje léčivou látku nusinersen.

Jak se přípravek Spinraza používá?

Výdej přípravku Spinraza je vázán na lékařský předpis. Léčba by měla být zahájena lékařem, který má zkušenosti s léčbou spinální svalové atrofie.

Přípravek je k dispozici ve formě injekčního roztoku. Přípravek podává lékař či zdravotní sestra se zkušenostmi s tímto postupem cestou intratekální injekce (do spodní části zad, přímo do páteře). Před podáním přípravku Spinraza může být nutné u pacienta provést sedaci (podání léčiva k jeho zklidnění).

S podáváním přípravku Spinraza by se mělo začít co nejdříve po diagnóze spinální svalové atrofie u pacienta. Léčba by měla pokračovat tak dlouho, dokud je pro pacienta přínosná.

Více informací o používání přípravku Spinraza naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Jak přípravek Spinraza působí?

U pacientů se spinální svalovou atrofií chybí protein zvaný protein zprostředkující „přežití motoneuronů“ (SMN), který je nezbytný pro přežívání a normální fungování motoneuronů (nervových buněk z míchy, které řídí pohyb svalů). Protein SMN vzniká ze dvou genů, SMN1 a SMN2. U pacientů

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



se spinální svalovou atrofií chybí gen SMN1, ale mají gen SMN2, který většinou produkuje krátký protein SMN, který nefunguje stejně jako protein o plné délce.

Přípravek Spinraza je syntetický antisense oligonukleotid (typ genetického materiálu), který umožňuje genu SMN2 vytvářet protein v plné délce, který může normálně fungovat. Tento protein nahrazuje chybějící protein, čímž ulevuje od symptomů onemocnění.

Jaké přínosy přípravku Spinraza byly prokázány v průběhu studií?

Jedna hlavní studie zahrnující 121 malých dětí (průměrný věk 7 měsíců) se spinální svalovou atrofií ukázala, že přípravek Spinraza je účinný při zlepšování pohybu ve srovnání s placebem (injekcí neúčinného přípravku).

Po roce léčby vykazovalo 51 % (37 ze 73) dětí užívajících přípravek Spinraza pokrok na úrovni vývoje kontroly hlavičky, převalování, sezení, plazení, stoje a chůze, zatímco u žádných z dětí, které dostávaly placebo, podobný pokrok nebyl pozorován. Většina malých dětí léčených přípravkem Spinraza přežívala navíc déle a vyžadovala dechovou podporu později než děti, které dostávaly placebo.

Další studie posuzovala účinnost přípravku Spinraza u dětí, u kterých byla spinální svalová atrofie méně závažná a byla diagnostikována v pozdějším stádiu (v průměru ve věku 3 let). Po 15 měsících léčby bylo zlepšení pohybu pozorováno u 57 % dětí užívajících přípravek Spinraza ve srovnání s 26 % dětí užívajících placebo.

Studie provedené s přípravkem Spinraza jsou podrobněji popsány v hodnotících zprávách přípravku.

Jaké jsou nežádoucí účinky a omezení přípravku Spinraza?

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Spinraza je uveden v příbalové informaci.

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Spinraza (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) jsou bolest hlavy, bolest zad a zvracení. Má se za to, že tyto nežádoucí účinky jsou způsobeny injekcemi do páteře při podání tohoto léčivého přípravku. U malých dětí nemohly být některé nežádoucí účinky posouzeny, neboť ještě nejsou schopny o nich komunikovat.

Na základě čeho byl přípravek Spinraza registrován v EU?

Evropská agentura pro léčivé přípravky ve svém hodnocení uznala závažný charakter onemocnění a naléhavou potřebu účinné léčby.

Bylo prokázáno, že přípravek Spinraza vede ke klinicky významnému zlepšení u malých dětí s různým stupněm závažnosti onemocnění. Ačkoli léčivý přípravek nebyl testován u pacientů s nejzávažnější a nejmírnější formou spinální svalové atrofie, očekává se, že bude mít u těchto pacientů podobný přínos.

Nežádoucí účinky jsou považovány za zvladatelné, přičemž většina nežádoucích účinků souvisí se způsobem podání léčivého přípravku.

Agentura tedy rozhodla, že přínosy přípravku Spinraza převyšují jeho rizika, a proto doporučila, aby byl schválen k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Spinraza?

Společnost, která přípravek Spinraza dodává na trh, vypracuje a předloží výsledky probíhající studie dlouhodobé bezpečnosti a účinnosti tohoto léčivého přípravku u pacientů, u nichž příznaky spinální svalové atrofie dosud nebyly zaznamenány.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla rovněž zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Spinraza, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Spinraza průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Spinraza jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Spinraza

Přípravku Spinraza bylo uděleno rozhodnutí o registraci platné v celé EU dne 30. května 2017.

Další informace o přípravku Spinraza, včetně příbalové informace a hodnotící zprávy, jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/spinraza.

Informace o dostupnosti tohoto přípravku ve vaší zemi vám poskytne [příslušný vnitrostátní orgán](#).

Tento přehled byl naposledy aktualizován v 03-2026.