



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/736370/2017
EMA/H/C/004312

Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

Spinraza

nusinersenum

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR) pro přípravek Spinraza. Objasňuje, jakým způsobem agentura vyhodnotila tento přípravek, aby mohla doporučit vydání rozhodnutí o registraci přípravku v EU a podmínky jeho používání. Účelem tohoto dokumentu není poskytnout praktické rady o tom, jak přípravek Spinraza používat.

Pokud jde o praktické informace o používání přípravku Spinraza, pacienti by si měli přečíst příbalovou informaci nebo se obrátit na svého lékaře či lékárníka.

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.

Jelikož počet pacientů se spinální svalovou atrofií je nízký, toto onemocnění se považuje za zřídka se vyskytující a přípravek Spinraza byl dne 2. dubna 2012 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“.

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 dostupný ve formě injekčního roztoku v injekčních lahvičkách o objemu 12 ml. Přípravek podává lékař či zdravotní sestra se zkušenostmi s tímto postupem cestou intratekální injekce (do

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 Facsimile +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



spodní části zad, přímo do páteře). Před podáním přípravku Spinraza může být nutná u pacienta provést sedaci (podání léčiva ke zklidnění pacienta).

Doporučená dávka je 12 mg (jedna injekční lahvička) a měla by se podat co nejdříve po diagnóze spinální svalové atrofie u pacienta. Po první dávce by měly následovat 3 další dávky po 2, 4 a 9 týdnech a poté jedna dávka každé 4 měsíce. Léčba by měla pokračovat tak dlouho, dokud je pro pacienta přínosná. Podrobné informace jsou uvedeny v příbalové informaci.

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 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.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Spinraza?

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 nejsou ještě schopny o nich komunikovat.

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

Na základě čeho byl přípravek Spinraza schválen?

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, dokončí pokračující studie dlouhodobé bezpečnosti a účinnosti léčivého přípravku u pacientů, kteří vykazují symptomy spinální svalové atrofie, i u pacientů, kteří symptomy zatím nevykazují.

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.

Další informace o přípravku Spinraza

Evropská komise udělila rozhodnutí o registraci přípravku Spinraza platné v celé Evropské unii dne 30. května 2017.

Plné znění zprávy EPAR pro přípravek Spinraza je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Další informace o léčbě přípravkem Spinraza naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Shrnutí stanoviska k přípravku Spinraza vydaného Výborem pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Tento souhrn byl naposledy aktualizován v 11-2017.