



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Spinraza (*nusinersen*)

En letlæselig oversigt over Spinraza, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Spinraza, og hvad anvendes det til?

Spinraza er et lægemiddel, der anvendes til behandling den genetiske sygdom 5q spinal muskelatrofi (SMA), der forårsager svaghed og svind af musklerne, herunder vejrtrækningsmusklerne. Sygdommen skyldes en fejl i kromosom 5q, og symptomerne begynder normalt kort efter fødslen.

SMA er sjælden, og Spinraza blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 2. april 2012. Der findes mere information om lægemidler til sjældne sygdomme på [EMA's websted](#).

Spinraza indeholder det aktive stof nusinersen.

Hvordan anvendes Spinraza?

Spinraza fås kun på recept, og behandling bør indledes af en læge, der har erfaring med behandling af SMA.

Lægemidlet fås som en injektionsvæske, opløsning. Det gives ved intratekal injektion (injektion nederst på ryggen, direkte i rygraden) af en læge eller sygeplejerske, der har erfaring med at udføre denne procedure. Patienten kan behøve et beroligende middel (sedativ) før administration af Spinraza.

Spinraza bør administreres så hurtigt som muligt, efter at patienten er blevet diagnosticeret med SMA. Behandling bør fortsætte, så længe patienten har gavn af den.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Spinraza, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Spinraza?

Patienter med SMA mangler et såkaldt "survival motorneuron" protein (SMN-protein), som er afgørende for, at motorneuroner (nerveceller i rygmærven, der styrer muskelbevægelser) kan overleve og fungere normalt. Ved dannelsen af SMN-proteinet medvirker to gener, SMN1 og SMN2. Patienter med SMA mangler SMN1-genet, men har SMN2-genet, der som regel producerer et kort SMN-protein, der ikke virker lige så godt som et protein i fuld længde.

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



Spinraza er et syntetisk antisense-oligonukleotid (en art genetisk materiale), der gør det muligt for SMN2-genet at producere et protein i fuld længde, der virker normalt. Det erstatter det manglende protein og mindsker derved symptomerne på sygdommen.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Spinraza?

Ét hovedstudie blandt 121 spædbørn (med en gennemsnitsalder på 7 måneder) med SMA viste, at Spinraza er effektivt til at forbedre motorikken sammenlignet med placebo (skininjektion).

Efter ét års behandling udviste 51 % af de spædbørn, der fik Spinraza (37 ud af 73), fremskridt med hensyn til at kontrollere hovedet, rulle, sidde, kravle, stå og gå, hvorimod der ikke var de samme fremskridt hos nogen af de spædbørn, der fik placebo. De fleste spædbørn, der blev behandlet med Spinraza, overlevede desuden længere og klarede sig længere uden åndedrætsstøtte end dem, der fik placebo.

I en andet studie vurderedes Spinrazas virkning hos børn med mindre svær SMA, som var diagnosticeret senere (gennemsnitsalder 3 år). Efter 15 måneders behandling sås der hos 57 % af de børn, der fik Spinraza, forbedret motorik, sammenlignet med 26 % af de børn, der fik placebo.

De studier, der er gennemført med Spinraza, er beskrevet nærmere i lægemidlets vurderingsrapporter.

Hvilke bivirkninger og begrænsninger er der ved Spinraza?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Spinraza fremgår af indlægssedlen.

De mest almindelige bivirkninger ved Spinraza (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) omfatter hovedpine, rygsmerter og opkastning. Bivirkningerne antages at skyldes de injektioner i ryggraden, som anvendes til at give lægemidlet. Hos spædbørn kunne nogle bivirkninger ikke vurderes, da de ikke kunne give udtryk for dem.

Hvorfor er Spinraza godkendt i EU?

I sin vurdering erkendte Det Europæiske Lægemiddelagentur sygdommens alvorlige karakter og det tvingende behov for effektiv behandling.

Det er påvist, at Spinraza fører til klinisk betydningsfuld bedring hos små børn med forskellige sværhedsgrader af sygdommen. Lægemidlet blev ikke afprøvet hos patienter med hverken de sværeste eller de letteste former for SMA, men forventes at give tilsvarende fordele for sådanne patienter.

Bivirkningerne blev anset for håndterbare, da de for størstedelens vedkommende skyldes den måde, lægemidlet gives på.

Agenturet konkluderede derfor, at fordelene ved Spinraza opvejer risiciene, og anbefalede, at det godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre, at Spinraza anvendes sikkert og effektivt?

Virksomheden, der markedsfører Spinraza, vil færdiggøre og indsende resultaterne af et igangværende studie af lægemidlets sikkerhed og virkning på lang sigt hos patienter, der endnu ikke udviser symptomer på SMA.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at Spinraza anvendes sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende anvendelsen af Spinraza løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Spinraza vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Øvrig information om Spinraza

Spinraza fik en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele EU den 30. maj 2017.

Der findes mere information om Spinraza, herunder indlægssedlen og vurderingsrapporten, på agenturets websted: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/spinraza.

Hvis du ønsker at vide, om lægemidlet er tilgængeligt i dit land, kan du kontakte den [nationale kompetente myndighed](#).

Denne oversigt blev sidst ajourført i 03-2026.