



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Spinraza (*nusinersen*)

Leicht verständliche Übersicht über Spinraza und warum es in der EU zugelassen ist

### Was ist Spinraza und wofür wird es angewendet?

Spinraza ist ein Arzneimittel zur Behandlung der 5q-assoziierten spinalen Muskelatrophie (SMA), einer genetischen Erkrankung, die Muskelschwäche und Muskelschwund, einschließlich der Lungenmuskulatur, verursacht. Die Erkrankung ist auf einen Defekt des Chromosoms 5q zurückzuführen, und die Symptome treten in der Regel kurz nach der Geburt auf.

SMA ist selten, und Spinraza wurde am 2. April 2012 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zur Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie auf den [Internetseiten](#) der EMA.

Spinraza enthält den Wirkstoff Nusinersen.

### Wie wird Spinraza angewendet?

Spinraza ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich und die Behandlung sollte von einem in der Behandlung von SMA erfahrenen Arzt eingeleitet werden.

Das Arzneimittel ist als Injektionslösung erhältlich. Es wird von einem Arzt oder medizinischem Fachpersonal, die in der Durchführung dieses Eingriffs geschult sind, als intrathekale Injektion (in den unteren Rücken, direkt in die Wirbelsäule) verabreicht. Gegebenenfalls ist die Sedierung des Patienten (Anwendung eines Arzneimittels zur Beruhigung) vor der Verabreichung von Spinraza erforderlich.

Spinraza sollte so bald wie möglich nachdem die SMA bei dem Patienten diagnostiziert wurde, angewendet werden. Die Behandlung sollte so lange fortgesetzt werden, wie der Patient daraus therapeutischen Nutzen zieht.

Weitere Informationen zur Anwendung von Spinraza entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

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

An agency of the European Union



## Wie wirkt Spinraza?

Patienten mit SMA fehlt ein Eiweiß, das als „Survival Motor Neuron“ (SMN)-Protein bezeichnet wird und das für das Überleben und die normale Funktion von Motoneuronen (Nervenzellen aus dem Rückenmark, die Muskelbewegungen steuern) von zentraler Bedeutung ist. Das SMN-Protein besteht aus zwei Genen, SMN1 und SMN2. Patienten mit SMA fehlt das SMN1-Gen, während das SMN2-Gen vorhanden ist, wodurch in den meisten Fällen ein kurzes SMN-Protein entsteht, das nicht so gut funktioniert wie ein Protein voller Länge.

Spinraza ist ein synthetisches Antisense-Oligonukleotid (eine Art von genetischem Material), das das SMN2-Gen zur Produktion von einem Protein voller Länge befähigt, das in der Lage ist, normal zu funktionieren. Dieses ersetzt das fehlende Protein, wodurch die Symptome der Erkrankung gelindert werden.

## Welchen Nutzen hat Spinraza in den Studien gezeigt?

Aus einer Hauptstudie, an der 121 Säuglinge mit SMA (mit einem Durchschnittsalter von 7 Monaten) teilnahmen, ging hervor, dass Spinraza im Vergleich zu Placebo (einer Scheininjektion) eine Verbesserung der Bewegung bewirkt.

Nach einjähriger Behandlung hatten 51 % der mit Spinraza behandelten Säuglinge (37 von 73) Fortschritte bei der Entwicklung von Kopfkontrolle, Rollen, Sitzen, Krabbeln, Stehen und Gehen gemacht, während ein ähnlicher Fortschritt bei keinem der mit Placebo behandelten Säuglinge festgestellt wurde. Darüber hinaus überlebten die meisten der mit Spinraza behandelten Säuglinge länger und benötigten eine Atemunterstützung später als die Säuglinge, denen Placebo gegeben wurde.

In einer anderen Studie wurde die Wirksamkeit von Spinraza bei Kindern bewertet, deren SMA weniger schwer war und zu einem späteren Zeitpunkt diagnostiziert wurde (Durchschnittsalter von 3 Jahren). Nach 15-monatiger Behandlung zeigten 57 % der Kinder, die Spinraza erhielten, Verbesserungen bei der Bewegung im Vergleich zu 26 % der Kinder unter Placebo.

Studien, die mit Spinraza durchgeführt wurden, werden in den Beurteilungsberichten des Arzneimittels ausführlicher beschrieben.

## Welche Nebenwirkungen und Einschränkungen sind mit Spinraza verbunden?

Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Spinraza berichteten Nebenwirkungen und Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Sehr häufige Nebenwirkungen von Spinraza (die mehr als 1 von 10 Personen betreffen können) sind Kopfschmerzen, Rückenschmerzen und Erbrechen. Es wird davon ausgegangen, dass diese Nebenwirkungen von den Injektionen in die Wirbelsäule, mit denen das Arzneimittel verabreicht wird, verursacht werden. Bei Säuglingen konnten einige Nebenwirkungen nicht bewertet werden, da sie die Nebenwirkungen nicht kommunizieren konnten.

## Warum wurde Spinraza in der EU zugelassen?

In ihrer Beurteilung erkannte die Europäische Arzneimittel-Agentur die Schwere der Erkrankung und die dringende Notwendigkeit wirksamer Behandlungsmethoden an.

Es wurde gezeigt, dass Spinraza bei Kleinkindern mit unterschiedlichen Schweregraden der Erkrankung zu klinisch bedeutsamen Verbesserungen führt. Obwohl das Arzneimittel bei Patienten mit den

schwersten und leichtesten SMA-Formen nicht untersucht wurde, ist damit zu rechnen, dass diese Patienten ähnliche Vorteile aus der Behandlung mit dem Arzneimittel ziehen.

Die Nebenwirkungen wurden als behandelbar betrachtet, wobei die meisten Nebenwirkungen im Zusammenhang mit der Art der Verabreichung des Arzneimittels stehen.

Daher gelangte die Agentur zu dem Schluss, dass der Nutzen von Spinraza gegenüber den Risiken überwiegt, und empfahl, es für die Anwendung in der EU zuzulassen.

### **Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Spinraza ergriffen?**

Das Unternehmen, das Spinraza in Verkehr bringt, wird eine laufende Studie zur langfristigen Sicherheit und Wirksamkeit des Arzneimittels bei Patienten, die noch keine SMA-Symptome aufweisen, abschließen und die Ergebnisse vorlegen.

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Spinraza, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden auch in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Spinraza kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Spinraza werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

### **Weitere Informationen über Spinraza**

Spinraza erhielt am 30. Mai 2017 eine Genehmigung für das Inverkehrbringen in der gesamten EU.

Weitere Informationen zu Spinraza, einschließlich der Packungsbeilage und des Beurteilungsberichts, finden Sie auf den Internetseiten der Agentur: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/spinraza](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/spinraza).

Wenn Sie Informationen über die Verfügbarkeit dieses Arzneimittels in Ihrem Land benötigen, wenden Sie sich bitte an Ihren [Zuständige nationale Behörde](#).

Die vorliegende Übersicht wurde zuletzt im 03-2026 aktualisiert.