



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Spinraza (νουσινερσένη)

Ανασκόπηση του Spinraza σε απλή γλώσσα και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Spinraza και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Spinraza είναι φάρμακο που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία της νωτιαίας μυϊκής ατροφίας (SMA) 5q, μιας γενετικής νόσου που προκαλεί αδυναμία και ατροφία των μυών, συμπεριλαμβανομένων των πνευμονικών μυών. Η νόσος συνδέεται με ελαττωματικό χρωμόσωμα 5q και τα συμπτώματα συνήθως εμφανίζονται λίγο μετά τη γέννηση.

Η SMA είναι «σπάνια» και το Spinraza χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες παθήσεις) στις 2 Απριλίου 2012. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε στον [δίκτυακό τόπο του EMA](#).

Το Spinraza περιέχει τη δραστική ουσία νουσινερσένη.

Πώς χρησιμοποιείται το Spinraza;

Το Spinraza χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή και η έναρξη της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιείται από γιατρό με εμπειρία στη θεραπεία της SMA.

Το φάρμακο διατίθεται υπό μορφή ενέσιμου διαλύματος. Χορηγείται με ενδορραχιαία ένεση (στο κάτω μέρος της πλάτης, κατευθείαν στη σπονδυλική στήλη) από γιατρό ή νοσηλευτή πεπειραμένο στην εκτέλεση αυτής της διαδικασίας. Ο ασθενής ενδέχεται να χρειαστεί να λάβει κατασταλτικό (ένα φάρμακο για να ηρεμήσει) πριν του χορηγηθεί το Spinraza.

Το Spinraza πρέπει να χορηγείται το συντομότερο δυνατόν μετά τη διάγνωση της SMA στον ασθενή. Η θεραπεία πρέπει να συνεχίζεται για όσο χρονικό διάστημα ο ασθενής αντλεί όφελος από αυτήν.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Spinraza, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Πώς δρα το Spinraza;

Οι ασθενείς με SMA παρουσιάζουν έλλειψη μιας πρωτεΐνης που ονομάζεται πρωτεΐνη επιβίωσης του κινητικού νευρώνα (SMN), η οποία είναι απαραίτητη για την επιβίωση και τη φυσιολογική λειτουργία των κινητικών νευρώνων (νευρικά κύτταρα της σπονδυλικής στήλης που ελέγχουν τις κινήσεις των

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



μυών). Η πρωτεΐνη SMN αποτελείται από δύο γονίδια, τα SMN1 και SMN2. Οι ασθενείς με SMA παρουσιάζουν έλλειψη του γονιδίου SMN1, αλλά διαθέτουν το γονίδιο SMN2, το οποίο παράγει κυρίως μια μικρού μήκους πρωτεΐνη SMN που δεν λειτουργεί τόσο καλά όσο η πρωτεΐνη πλήρους μήκους.

Το Spinraza είναι ένα συνθετικό αντινοσηματικό ολιγονουκλεοτίδιο (τύπος γενετικού υλικού) που επιτρέπει στο γονίδιο SMN2 να παράγει πρωτεΐνη πλήρους μήκους, η οποία μπορεί να λειτουργεί φυσιολογικά. Η πρωτεΐνη αυτή υποκαθιστά την πρωτεΐνη που λείπει, ανακουφίζοντας τα συμπτώματα της νόσου.

Ποια είναι τα οφέλη του Spinraza σύμφωνα με τις μελέτες;

Σε μία κύρια μελέτη στην οποία συμμετείχαν 121 βρέφη (με μέση ηλικία 7 μηνών) με SMA καταδείχθηκε ότι το Spinraza είναι αποτελεσματικό στη βελτίωση της κίνησης σε σύγκριση με εικονικό φάρμακο (εικονική ένεση).

Έπειτα από ένα έτος θεραπείας, 51% των βρεφών που λάμβαναν Spinraza (37 από 73) εμφάνισαν πρόοδο στην ανάπτυξη ελέγχου του κεφαλιού, κύλισης, καθίσματος, έρπυσης, στάσης σε όρθια θέση και βάδισης, ενώ δεν παρατηρήθηκε παρόμοια πρόοδος σε κανένα από τα βρέφη που έλαβαν εικονικό φάρμακο. Επιπλέον, τα περισσότερα βρέφη που έλαβαν θεραπεία με Spinraza επιβίωσαν για μεγαλύτερο χρονικό διάστημα και χρειάστηκαν αναπνευστική υποστήριξη αργότερα, σε σύγκριση με τα βρέφη που έλαβαν εικονικό φάρμακο.

Για την αξιολόγηση της αποτελεσματικότητας του Spinraza σε παιδιά με λιγότερο σοβαρή SMA που διαγνώστηκε σε μεταγενέστερο στάδιο (μέση ηλικία 3 ετών) διενεργήθηκε και άλλη μελέτη. Μετά από 15 μήνες θεραπείας, το 57% των παιδιών που έλαβαν Spinraza παρουσίασαν βελτίωση στην κίνηση ενώ το αντίστοιχο ποσοστό των παιδιών που έλαβαν εικονικό φάρμακο ήταν 26%.

Οι μελέτες που διενεργήθηκαν για το Spinraza περιγράφονται λεπτομερέστερα στις εκθέσεις αξιολόγησης του φαρμάκου.

Ποιες είναι οι ανεπιθύμητες ενέργειες και οι περιορισμοί του Spinraza;

Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών που αναφέρθηκαν με το Spinraza περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Spinraza (ενδέχεται να εμφανιστούν σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) είναι κεφαλαλγία, οσφυαλγία και έμετος. Οι εν λόγω ανεπιθύμητες ενέργειες θεωρείται ότι προκαλούνται από τις ενέσεις στη σπονδυλική στήλη με τις οποίες χορηγείται το φάρμακο. Ορισμένες ανεπιθύμητες ενέργειες ήταν αδύνατο να αξιολογηθούν στα βρέφη, δεδομένου ότι τα βρέφη δεν μπορούσαν να τις γνωστοποιήσουν.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Spinraza στην ΕΕ;

Στην αξιολόγησή του, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων αναγνώρισε τη σοβαρή φύση της νόσου και την επείγουσα ανάγκη για ανεύρεση αποτελεσματικών θεραπειών.

Το Spinraza έχει αποδειχθεί ότι οδηγεί σε κλινικά σημαντικές βελτιώσεις σε παιδιά μικρής ηλικίας ανεξαρτήτως του βαθμού σοβαρότητας της νόσου. Παρόλο που το φάρμακο δεν έχει δοκιμαστεί σε ασθενείς με τις πιο σοβαρές και τις πιο ήπιες μορφές SMA, αναμένεται να παρέχει παρόμοια οφέλη και σε αυτούς τους ασθενείς.

Οι ανεπιθύμητες ενέργειες θεωρήθηκαν διαχειρίσιμες, με τις περισσότερες εξ αυτών να σχετίζονται με τον τρόπο χορήγησης του φαρμάκου.

Ως εκ τούτου, ο Οργανισμός έκρινε ότι τα οφέλη του Spinraza υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση της χρήσης του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Spinraza;

Η εταιρεία που εμπορεύεται το Spinraza θα ολοκληρώσει και θα υποβάλει τα αποτελέσματα μιας εν εξελίξει μελέτης σχετικά με τη μακροπρόθεσμη ασφάλεια και αποτελεσματικότητα του φαρμάκου σε ασθενείς που δεν εμφανίζουν ακόμη συμπτώματα SMA.

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν επίσης συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Spinraza.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Spinraza τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι πιθανολογούμενες ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Spinraza αξιολογούνται προσεκτικά και λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Spinraza

Το Spinraza έλαβε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την ΕΕ, στις 30 Μαΐου 2017.

Περισσότερες πληροφορίες για το Spinraza, καθώς και για το φύλλο οδηγιών χρήσης και την έκθεση αξιολόγησης, διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/spinraza.

Για πληροφορίες σχετικά με τη διαθεσιμότητα αυτού του φαρμάκου στη χώρα σας, επικοινωνήστε με [εθνική αρμόδια αρχή](#).

Τελευταία ενημέρωση της ανασκόπησης: 03-2026.