



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Резюме на EPAR за обществено ползване

---

# Spinraza

## nusinersen

Настоящият документ представлява резюме на Европейския публичен оценъчен доклад (EPAR) за Spinraza. В него се разяснява как Агенцията е оценила лекарството, за да препоръча разрешаване за употреба в ЕС и условия на употреба. Документът не е предназначен да предоставя практически съвети относно употребата на Spinraza.

За практическа информация относно употребата на Spinraza пациентите следва да прочетат листовката или да попитат своя лекар или фармацевт.

### Какво представлява Spinraza и за какво се използва?

Spinraza е лекарство, което се използва за лечение на 5q спинална мускулна атрофия (СМА), генетично заболяване, което причинява слабост и изтощаване на мускулите, в това число на белодробните мускули. Заболяването е свързано с дефект на хромозомата 5q и симптомите обикновено се проявяват скоро след раждане.

Тъй като броят на пациентите със СМА е малък, болестта се счита за „рядка“ и Spinraza е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки болести) на 2 април 2012 г.

Spinraza съдържа активното вещество нусинерсен (nusinersen).

### Как се използва Spinraza?

Spinraza се отпуска по лекарско предписание и лечението трябва да се започне от лекар с опит в лечението на СМА.

Лекарството се предлага под формата на инжекционен разтвор във флакони от 12 mg. То се прилага чрез интратекална инжекция (в долната част на гърба, директно в гръбнака) от лекар или медицинска сестра с опит за извършването на тази процедура. Възможно е да се наложи



пациентът да бъде седиран (да му се даде лекарство за успокояване) преди прилагане на Spinraza.

Препоръчителната доза е 12 mg (един флакон), която се прилага възможно най-скоро, след като на пациента е поставена диагноза за СМА. Първата доза трябва да бъде последвана от още 3 дози след 2, 4 и 9 седмици, а след това се прилага една доза на всеки 4 месеца. Лечението трябва да продължи, докато пациентът се повлиява положително. За повече информация вижте листовката.

## **Как действа Spinraza?**

При пациенти със СМА липсва протеин, наречен протеин на „моторен неврон за оцеляване“ (SMN), който е необходим за оцеляването и нормалното функциониране на моторните неврони (нервни клетки в гръбначния стълб, които контролират движенията на мускулите). SMN протеинът се състои от два гена, SMN1 и SMN2. При пациенти със СМА липсва генът SMN1, но е налице генът SMN2, който произвежда предимно къс SMN протеин, който не работи така добре, както протеинът с пълна дължина.

Spinraza е синтетичен антисенс олигонуклеотид (вид генетичен материал), който позволява на SMN2 гена да произвежда протеин с пълна дължина, който е в състояние да работи нормално. Той заменя липсващия протеин и по този начин облекчава симптомите на заболяването.

## **Какви ползи от Spinraza са установени в проучванията?**

В едно основно проучване, обхващащо 121 бебета (на средна възраст 7 месеца) със СМА, е показано, че Spinraza е ефективен за подобряване на движението в сравнение с плацебо (псевдоинжекция).

След едногодишно лечение 51 % от бебетата, които получават Spinraza (37 от 73), показват прогрес в развитието на контрол на главата, поклащане, седене, пълзене, стоене и ходене, докато подобен прогрес не се наблюдава при нито едно от бебетата, получаващи плацебо. Освен това повечето бебета, лекувани със Spinraza, преживяват по-дълго време и се нуждаят от помощ за дишане на по-късен етап, отколкото тези, които получават плацебо.

В друго проучване е оценена ефективността на Spinraza при деца, чиято СМА не е толкова тежка и е диагностицирана на по-късен етап (на средна възраст 3 години). След 15 месеца от лечението 57 % от приемащите Spinraza деца имат подобрене в движенията, сравнено с 27 % при децата на плацебо.

## **Какви са рисковете, свързани със Spinraza?**

Най-честите нежелани лекарствени реакции при Spinraza (които е възможно да засегнат повече от 1 на 10 души) са главоболие, болка в гърба и повръщане. Смята се, че тези нежелани лекарствени реакции се причиняват от инжекциите в гръбнака, които се използват за прилагане на лекарството. При бебета не е възможно да се оценят някои от нежеланите реакции, тъй като те не са в състояние да ги опишат.

За пълния списък на всички нежелани лекарствени реакции и ограничения, съобщени при Spinraza, вижте листовката.

## **Защо Spinraza е разрешен за употреба?**

В оценката си Европейска агенция по лекарствата признава сериозното естество на заболяването и спешната нужда от ефективни лечения.

Доказано е, че Spinraza води до клинично значими подобрения при малки деца с различни степени на тежест на заболяването. Въпреки че лекарството не е изпитвано при пациенти с най-тежката и най-леката форма на СМА, очаква се то да осигури същите ползи за тези пациенти.

Нежеланите лекарствени реакции се считат за управляеми, като повечето нежелани лекарствени реакции са свързани с начина на прилагане на лекарството.

Следователно Агенцията реши, че ползите от Spinraza са по-големи от рисковете, и препоръча Spinraza да бъде разрешен за употреба в ЕС.

### **Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Spinraza?**

Фирмата, която предлага Spinraza, ще завърши текущите проучвания на дългосрочната безопасност и ефикасност на лекарството при пациенти, които показват симптоми на СМА и пациенти, които все още не показват симптоми.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Spinraza, които да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени в кратката характеристика на продукта и в листовката.

### **Допълнителна информация за Spinraza:**

На 30 май 2017 г. Европейската комисия издава разрешение за употреба на Spinraza, валидно в Европейския съюз.

Пълният текст на EPAR за Spinraza може да се намери на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). За повече информация относно лечението със Spinraza прочетете листовката (също част от EPAR) или попитайте Вашия лекар или фармацевт.

Резюме на становището на Комитета по лекарствата сираци за Spinraza може да се намери на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Дата на последно актуализиране на текста 11-2017.