



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR – sammendrag for offentligheden

Spinraza

nusinersen

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Spinraza. Det forklarer, hvordan agenturet vurderede lægemidlet for at kunne anbefale udstedelse af en markedsføringstilladelse i EU og fastlægge anvendelsesbetingelserne. Det er ikke en praktisk vejledning i, hvordan Spinraza bør anvendes.

Hvis du ønsker praktisk vejledning om anvendelsen af Spinraza, kan du læse indlægssedlen eller kontakte din læge eller dit apotek.

Hvad er Spinraza, og hvad anvendes det til?

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

Da antallet af patienter med SMA er lavt, betragtes sygdommen som "sjælden", og Spinraza blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 2. april 2012.

Spinraza indeholder det aktive stof nusinersen.

Hvordan anvendes Spinraza?

Spinraza udleveres kun efter recept, og behandlingen bør iværksættes af en læge med erfaring i behandling af SMA.

Lægemidlet fås som injektionsvæske, opløsning, i 12-mg-hætteglas. Det gives ved indsprøjtning nederst på ryggen direkte i rygsøjlen (intratekal injektion) af en læge eller sygeplejerske med erfaring i at udføre denne procedure. Patienten kan behøve et beroligende middel (sedativ) før indgivelse af Spinraza.

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



Den anbefalede dosis er 12 mg (ét hætteglas), hurtigst muligt efter at patienten har fået stillet diagnosen SMA. Den første dosis skal efterfølges af 3 yderligere doser efter 2, 4 og 9 uger og derefter én dosis hver 4. måned. Behandlingen bør fortsættes, så længe det er til fordel for patienten. De nærmere oplysninger fremgår af indlægssedlen.

Hvordan virker Spinraza?

Patienter med SMA mangler "survival motor neuron" (SMN)-proteinet, som er afgørende for, at de nerveceller fra rygmarven, der styrer muskelbevægelserne (de motoriske neuroner), kan overleve og fungere normalt. Til 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, som ikke virker lige så godt som et protein i fuld længde.

Spinraza er et syntetisk antisense-oligonukleotid (en art genetisk materiale), som 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 undersøgelserne, at der er ved Spinraza?

En hovedundersøgelse, der omfattede 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, som blev behandlet med Spinraza, overlevede desuden længere og klarede sig længere uden åndedrætsstøtte end dem, der fik placebo.

I en anden undersøgelse 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.

Hvilke risici er der forbundet med Spinraza?

De hyppigste bivirkninger ved Spinraza (som optræder hos mere end 1 ud af 10 patienter) er 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.

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

Hvorfor blev Spinraza godkendt?

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 at kunne håndteres, da de for størstedelen skyldes den måde medicinen 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 risikofri og effektiv anvendelse af Spinraza?

Virksomheden, der markedsfører Spinraza, vil fuldføre igangværende undersøgelser af lægemidlets langsigtede sikkerhed og virkning hos patienter med symptomer på SMA og patienter, der endnu er symptomfrie.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Spinraza.

Andre oplysninger om Spinraza

Europa-Kommissionen udstedte en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele Den Europæiske Union for Spinraza den 30. maj 2017.

Den fuldstændige EPAR for Spinraza findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Spinraza, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Sammendraget af udtalelsen fra Udvalget for Lægemidler til Sjældne Sygdomme om Spinraza findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Dette sammendrag blev sidst ajourført i 11-2017.