



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Περίληψη EPAR για το κοινό

Spinraza

nusinersen

Το παρόν έγγραφο αποτελεί σύνοψη της Ευρωπαϊκής Δημόσιας Έκθεσης Αξιολόγησης (EPAR) του Spinraza. Επεξηγεί τον τρόπο με τον οποίο ο Οργανισμός αξιολόγησε το φάρμακο προτού εισηγηθεί τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στην Ευρωπαϊκή Ένωση και διατυπώσει συστάσεις σχετικά με τους όρους χρήσης του. Δεν αποσκοπεί στην παροχή πρακτικών συμβουλών για τον τρόπο χρήσης του Spinraza.

Για πρακτικές πληροφορίες σχετικά με τη λήψη του Spinraza, οι ασθενείς πρέπει να συμβουλευτούν το φύλλο οδηγιών χρήσης ή να επικοινωνούν με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό τους.

Τι είναι το Spinraza και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

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

Δεδομένου του μικρού αριθμού ασθενών με SMA και, άρα, της σπανιότητας της ασθένειας, το Spinraza χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο το οποίο χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 2 Απριλίου 2012.

Το Spinraza περιέχει τη δραστική ουσία nusinersen.

Πώς χρησιμοποιείται το Spinraza;

Το Spinraza χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή και η έναρξη και παρακολούθηση της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιείται από γιατρό με πείρα στην αντιμετώπιση της SMA.

Το φάρμακο διατίθεται σε μορφή ενέσιμου διαλύματος σε φιαλίδια των 12 mg. 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.

Η συνιστώμενη δόση είναι 12 mg (ένα φιαλίδιο), χορηγούμενη το συντομότερο δυνατό μετά τη διάγνωση του ασθενούς με SMA. Η πρώτη δόση πρέπει να ακολουθείται από 3 ακόμη δόσεις μετά από 2, 4 και 9 εβδομάδες και στη συνέχεια κάθε 4 μήνες. Η θεραπεία πρέπει να συνεχίζεται για όσο χρονικό διάστημα παρατηρούνται οφέλη για τον ασθενή. Για περισσότερες πληροφορίες, ανατρέξτε στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Πώς δρα το Spinraza;

Οι ασθενείς με SMA εμφανίζουν έλλειψη μιας πρωτεΐνης που ονομάζεται πρωτεΐνη επιβίωσης του κινητικού νευρώνα (survival motor neuron, SMN), η οποία είναι απαραίτητη για τους κινητικούς νευρώνες (νευρικά κύτταρα της σπονδυλικής στήλης που ελέγχουν τις κινήσεις των μυών) ώστε να επιβιώνουν και να λειτουργούν φυσιολογικά. Η πρωτεΐνη SMN αποτελείται από δύο γονίδια, τα SMN1 και SMN2. Οι ασθενείς με SMA δεν έχουν το γονίδιο SMN1 αλλά έχουν το γονίδιο SMN2, το οποίο παράγει ως επί το πλείστον μια μικρή πρωτεΐνη SMN που δεν λειτουργεί εξίσου καλά με μια πρωτεΐνη πλήρους μεγέθους.

Το Spinraza είναι ένα συνθετικό αντινοσηματικό ολιγονουκλεοτίδιο (τύπος γενετικού υλικού) που επιτρέπει στο γονίδιο SMN2 να παράγει πρωτεΐνη πλήρους μεγέθους, η οποία μπορεί να λειτουργεί φυσιολογικά. Αυτό υποκαθιστά την ελλείπουσα πρωτεΐνη, 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 διαγνώστηκαν 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%.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Spinraza;

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Spinraza (ενδέχεται να εμφανιστούν σε περισσότερα από 1 στα 10 άτομα) είναι κεφαλαλγία, έμετος και πόνος στην πλάτη. Αυτές οι ανεπιθύμητες ενέργειες θεωρείται ότι προκαλούνται από τις ενέσεις στη σπονδυλική στήλη που χρησιμοποιούνται για τη χορήγηση του φαρμάκου. Ορισμένες ανεπιθύμητες ενέργειες ήταν αδύνατο να αξιολογηθούν στα βρέφη, δεδομένου ότι τα βρέφη δεν μπορούσαν να τις κοινοποιήσουν.

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

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Spinraza;

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 τις εν εξελίξει μελέτες για τη μακροπρόθεσμη ασφάλεια και αποτελεσματικότητα του φαρμάκου σε ασθενείς που εμφανίζουν συμπτώματα SMA και ασθενείς που δεν εμφανίζουν ακόμη συμπτώματα.

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.

Λοιπές πληροφορίες για το Spinraza

Στις 30 Μαΐου 2017, η Ευρωπαϊκή Επιτροπή χορήγησε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την Ευρωπαϊκή Ένωση, για το Spinraza.

Η πλήρης EPAR του Spinraza διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία με το Spinraza, διαβάστε το φύλλο οδηγιών χρήσης (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην EPAR) ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Η περίληψη της γνώμης της επιτροπής ορφανών φαρμάκων για το Spinraza διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Τελευταία ενημέρωση της περίληψης: 11-2017.