



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR, sažetak za javnost

Spinraza

nusinersen

Ovo je sažetak europskoga javnog izvješća o procjeni (EPAR) lijeka Spinraza. Objašnjava kako je Agencija ocijenila lijek da bi preporučila njegovo odobrenje u EU-u te uvjete za njegovu primjenu. Svrha sažetka nije davati praktične savjete o primjeni lijeka Spinraza.

Praktične informacije o primjeni lijeka Spinraza bolesnici trebaju pročitati u uputi o lijeku, odnosno trebaju se obratiti svojem liječniku ili ljekarniku.

Što je Spinraza i za što se koristi?

Spinraza je lijek namijenjen za liječenje spinalne mišićne atrofije (SMA) uzrokovane mutacijom na kromosomu 5q, genetske bolesti koja uzrokuje slabost i propadanje mišića, uključujući mišiće povezane s plućima. Bolest je povezana s oštećenjem na kromosomu 5q, a simptomi obično počinju ubrzo nakon rođenja.

Budući da je broj osoba oboljelih od spinalne mišićne atrofije nizak, ta se bolest smatra „rijetkom“ te je lijek Spinraza dobio status „lijeka za liječenje rijetkih bolesti“ 2. travnja 2012.

Spinraza sadrži djelatnu tvar nusinersen.

Kako se Spinraza koristi?

Spinraza se izdaje samo na liječnički recept, a liječenje mora započeti liječnik s iskustvom u liječenju spinalne mišićne atrofije.

Lijek je dostupan kao otopina za injekciju u bočicama od 12 mg. Primjenjuje se intratekalnom injekcijom (u donji dio leđa, izravno u kralježnicu), a daje je liječnik ili medicinska sestra s iskustvom u izvođenju tog postupka. Prije nego što se primijeni lijek Spinraza, bolesniku će možda trebati dati sredstvo za sedaciju (opuštanje).

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



Preporučena doza je 12 mg (jedna bočica), a liječenje treba započeti čim je bolesniku postavljena dijagnoza spinalne mišićne atrofije. Poslije prve doze trebaju slijediti još tri doze nakon dva tjedna, četiri tjedna i devet tjedana, a potom jedna doza svaka četiri mjeseca. Terapiju je potrebno nastaviti sve dok bolesnik ima od nje koristi. Za dodatne informacije vidjeti uputu o lijeku.

Kako djeluje Spinraza?

Bolesnicima sa SMA-om nedostaje protein koji se naziva „protein za preživljenje motoričkih neurona“ (SMN), a neophodan je za preživljenje i normalnu funkciju motoričkih neurona (živčane stanice u kralježničnoj moždini koje upravljaju pokretima mišića). Protein SMN sastavljen je od dva gena, SMN1 i SMN2. Bolesnicima sa SMA-om nedostaje gen SMN1, ali imaju gen SMN2 koji uglavnom proizvodi kratki SMN protein koji ne funkcionira onako dobro kao protein pune duljine.

Spinraza je sintetički protusmjerni oligonukleotid (vrsta genetskog materijala) koji genu SMN2 omogućuje proizvodnju proteina pune duljine, tako da protein može funkcionirati normalno. Tako je zamijenjen protein koji nedostaje, a to ublažava simptome bolesti.

Koje su koristi lijeka Spinraza dokazane u ispitivanjima?

U jednom glavnom ispitivanju, u koje je bilo uključeno 121 dojenče (prosječne dobi od sedam mjeseci) sa SMA-om, pokazalo se da Spinraza učinkovito poboljšava pokretljivost u usporedbi s placebom (lažna injekcija).

Nakon godine dana liječenja, u 51 % dojenčadi (37 od 73) liječene lijekom Spinraza pokazao se napredak u postizanju kontrole glave, prevrtanja, sjedenja, puzanja, stajanja i hodanja, dok sličan napredak nije opažen ni u jednog dojenčeta koje je primalo placebo. Nadalje, većina dojenčadi liječena lijekom Spinraza preživjela je dulje i potporu disanja trebala kasnije nego ona koja je primala placebo.

U drugom ispitivanju procijenjena je učinkovitost lijeka Spinraza u djece u koje je SMA bila manje teška i dijagnosticirana je kasnije (u prosječnoj dobi od tri godine). Nakon 15-mjesečnog liječenja, u 57 % djece koja su primila lijek Spinraza zabilježen je napredak u kretanju, dok taj postotak u djece koja su primala placebo iznosi 26 %.

Koji su rizici povezani s lijekom Spinraza?

Najčešće su nuspojave lijeka Spinraza (koje se mogu javiti u više od 1 na 10 osoba) glavobolja, bol u leđima i povraćanje. Smatra se da su te nuspojave prouzročene injekcijama u kralježnicu kojima se daje lijek. U dojenčadi nije bilo moguće ocijeniti neke nuspojave zbog nemogućnosti komunikacije.

Potpuni popis svih nuspojava i ograničenja zabilježenih pri primjeni lijeka Spinraza potražite u uputi o lijeku.

Zašto je lijek Spinraza odobren?

U svojoj procjeni Europska agencija za lijekove prepoznala je ozbiljnu narav ove bolesti i hitnu potrebu za učinkovitim liječenjem.

Pokazalo se da se lijekom Spinraza postižu klinički značajna poboljšanja u male djece s različitim stupnjevima težine bolesti. Iako lijek nije ispitan u bolesnika s najtežim i najblažim oblicima SMA-e, očekuje se da će koristi koje on pruža biti slične i u tih bolesnika.

Smatra se da se nuspojave mogu kontrolirati, s tim da su najčešće nuspojave povezane s načinom primjene lijeka.

Stoga je Agencija zaključila da koristi lijeka Spinraza nadmašuju s njim povezane rizike te je preporučila davanje odobrenja za njegovu primjenu u EU-u.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Spinraza?

Tvrtka koja stavlja na tržište lijek Spinraza dovršit će ispitivanja koja još traju, a kojima se ispituje dugoročna sigurnost i učinkovitost lijeka u bolesnika koji pokazuju simptome SMA-e i onih koji još ne pokazuju simptome.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Spinraza nalaze se također u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Ostale informacije o lijeku Spinraza

Europska komisija izdala je odobrenje za stavljanje lijeka Spinraza u promet koje vrijedi na prostoru Europske unije od 30. svibnja 2017.

Cjeloviti EPAR za lijek Spinraza nalazi se na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Više informacija o liječenju lijekom Spinraza pročitajte u uputi o lijeku (također dio EPAR-a), odnosno obratite se svojem liječniku ili ljekarniku.

Sažetak mišljenja Odbora za lijekove za rijetke bolesti o lijeku Spinraza možete naći na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Sažetak je posljednji put ažuriran u 11. 2017.