



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Spinraza

nuszinerszen

Ez a dokumentum a Spinraza-ra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az Ügynökségnek a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett az EU-ban érvényes forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és az alkalmazási feltételekre vonatkozó ajánlásaihoz. A dokumentum nem tekinthető gyakorlati útmutatónak a Spinraza alkalmazására vonatkozóan.

Amennyiben a Spinraza alkalmazásával kapcsolatban gyakorlati információra van szüksége, olvassa el a betegájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

Milyen típusú gyógyszer a Spinraza és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Spinraza az 5q kromoszómához kötött, az izmok – beleértve a légzőizmok – gyengeségét és sorvadását okozó genetikai betegség, a spinális izomatrópia (SMA) kezelésére alkalmazott gyógyszer. A betegség az 5q kromoszóma hibájához köthető és a tünetek általában röviddel a születést követően jelentkeznek.

Mivel az SMA-ban szenvedő betegek száma alacsony, a betegség „ritkának” minősül, ezért a Spinraza-t 2012. április 2-án „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették.

A Spinraza hatóanyaga a nuszinerszen.

Hogyan kell alkalmazni a Spinraza-t?

Az Spinraza csak receptre kapható, és a terápiát az SMA kezelésében jártas orvosnak kell megkezdenie.

A gyógyszer oldatos injekció formájában, 12 mg-os ampullában kapható. Beadása intratekális injekció (a derék területére, közvetlenül a gerincbe) formájában történik, az eljárás elvégzésében jártas orvos

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



vagy nővér által. A Spinraza alkalmazása előtt szükséges lehet a beteg szedálására (gyógyszer alkalmazása a beteg megnyugtató céljából).

Az ajánlott adag 12 mg (egy ampulla), melyet az SMA diagnózisának felállítása után a lehető leghamarabb be kell adni. Az első adag után 2, 4 és 9 hét múlva további 3 adag, majd azután 4 havonta egy adag beadása szükséges. A kezelést addig kell folytatni, amíg az a beteg számára előnyös. További információ a betegtájékoztatóban található.

Hogyan fejt ki hatását a Spinraza?

Az SMA-ban szenvedő betegeknél hiányzik a „túlélő motoros neuron” (SMN) nevű fehérje, mely alapvető a motoros neuronok (az izmok mozgását vezérlő gerincvelői idegsejtek) túlélése és megfelelő működése szempontjából. Az SMN fehérje két génből áll, melyek az SMN1 és az SMN2. Az SMA-ban szenvedő betegeknél az SMN1 gén hiányzik, de az SMN2 gén jelen van. Az SMN2 gén többnyire egy rövid SMN fehérjét termel, mely nem működik olyan jól, mint a teljes hosszúságú fehérje.

A Spinraza egy szintetikus antiszensz oligonukleotid (a genetikai anyag egy típusa), mely lehetővé teszi, hogy az SMN2 gén teljes hosszúságú, megfelelő működésre képes fehérjét termeljen. Helyettesíti a hiányzó fehérjét, ezáltal enyhíti a betegség tüneteit.

Milyen előnyei voltak a Spinraza alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy, 121 SMA-ban szenvedő csecsemőt (átlagéletkor 7 hónap) bevonó fő vizsgálat során a Spinraza hatékonynak bizonyult a mozgás javításában placebóval (ál-injekció) összehasonlítva.

Egy év kezelés után a Spinraza-t kapó csecsemők 51%-a (73-ból 37) fejlődést mutatott a fejtartás, átfordulás, ülés, mászás, állás és járás tekintetében, míg a placebóval kezelt csecsemők egyikénél sem figyeltek meg hasonló fejlődést. Továbbá, a Spinraza-val kezelt csecsemők többségénél hosszabb túlélés és csak később jelentkező légzéztámogatási igény volt jellemző, szemben a placebóval kezelttel.

Egy másik vizsgálatban a Spinraza hatékonyságát kevésbé súlyos és későbbi stádiumban diagnosztizált (átlagéletkor 3 év) SMA-ban szenvedő gyermekeknél értékelték. 15 hónapos kezelést követően a Spinraza-t kapó gyermekek 57%-ánál mutatkozott javulás szemben a placebót kapó gyermekek 26%-ával.

Milyen kockázatokkal jár a Spinraza alkalmazása?

A Spinraza leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a fejfájás, hátfájás és a hányás. Ezeket a mellékhatásokat valószínűleg a gyógyszer alkalmazásakor a gerincbe adott injekciók okozzák. A csecsemőknél néhány mellékhatást nem tudtak értékelni, mivel a csecsemők nem tudták azokról beszámolni.

A Spinraza alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Spinraza forgalomba hozatalát?

Az Ügynökséghez tartozó emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP) vizsgálata során elismerte a betegség súlyos jellegét és a hatékony kezelés sürgős szükségességét.

A Spinraza klinikailag jelentős javuláshoz vezetett olyan fiatal gyermekeknél, akiknél a betegség súlyossága különböző szintű volt. Bár a gyógyszert az SMA legsúlyosabb és legenyhébb formáiban szenvedő betegeknél nem vizsgálták, az várhatóan hasonló előnyöket nyújt ezen betegek esetében.

A mellékhatásokat kezelhetőnek tekintették. A legtöbb mellékhatás a gyógyszerbeadás módjával függött össze.

A CHMP ezért megállapította, hogy a Spinraza alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszer EU-ban való alkalmazásának jóváhagyását.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Spinraza biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Spinraza-t forgalmazó vállalat befejezi a már SMA tüneteit mutató és még tünetmentes betegekkel végzett, a gyógyszer hosszú távú biztonságosságára és hatékonyságára irányuló folyamatban lévő vizsgálatait.

Az Spinraza biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Spinraza-val kapcsolatos egyéb információ

2017. május 30-án az Európai Bizottság a Spinraza-ra vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

Az Spinraza-ra vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Amennyiben a Spinraza-val történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Spinraza-ra vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 11-2017.