



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## **EPAR kopsavilkums plašākai sabiedrībai**

---

# Spinraza nuzinersēns

Šis ir Eiropas Publiskā novērtējuma ziņojuma (EPAR) kopsavilkums par *Spinraza*. Tajā ir paskaidrots, kā aģentūra ir vērtējusi šīs zāles, lai ieteiktu to reģistrāciju Eiropas Savienībā un sniegtu lietošanas nosacījumus. Tas nav paredzēts kā praktiski ieteikumi par *Spinraza* lietošanu.

Lai saņemtu praktisku informāciju par *Spinraza* lietošanu, pacientiem jāizlasa zāļu lietošanas instrukcija vai jāsaazinās ar ārstu vai farmaceitu.

### **Kas ir *Spinraza* un kāpēc tās lieto?**

*Spinraza* ir zāles, ar kurām ārstē 5q spinālo muskuļu atrofiju (SMA) – ģenētisku slimību, kas izraisa muskuļu, tostarp plaušu muskuļu, vājumu un zudumu. Šī slimība ir saistīta ar hromosomas 5q defektu, un simptomi parasti parādās neilgi pēc dzimšanas.

Sakarā ar to, ka SMA pacientu skaits ir mazs, šo slimību uzskata par "retu", un 2012. gada 2. aprīlī *Spinraza* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss.

*Spinraza* satur aktīvo vielu nuzinersēnu.

### **Kā lieto *Spinraza*?**

*Spinraza* var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana jāuzsāk ārstam ar pieredzi SMA ārstēšanā.

Zāles ir pieejamas kā šķīdums injekcijām 12 mg flakonos. Tās intratekālas injekcijas veidā (muguras apakšdaļā, tieši mugurkaulā) ievada ārsts vai medmāsa ar pieredzi šādas procedūras veikšanā. Pirms *Spinraza* ievadīšanas pacientam var būt nepieciešama sedācija (nomierinošu zāļu lietošana).

Ieteicamā deva ir 12 mg (viens flakons), lietojot iespējami drīz pēc SMA diagnosticēšanas. Pēc pirmās devas jālieto vēl 3 devas pēc 2, 4 un 9 nedēļām un pēc tam turpmāk viena deva ik pēc 4 mēnešiem.



Ārstēšanu turpina tik ilgi, kamēr pacientam no tās ir ieguvums. Sīkāku informāciju skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

## **Kā *Spinraza* darbojas?**

SMA pacientiem trūkst proteīna, ko sauc par "izdzīvošanas motoneironu" (*SMN*) proteīnu, un tas ir nozīmīgs motoneironu (muskulu kustības kontrolējošo muguras smadzeņu nervu šūnu) izdzīvošanai un normālai darbībai. *SMN* proteīns sastāv no diviem gēniem – *SMN1* un *SMN2*. SMA pacientiem trūkst *SMN1* gēna, bet ir *SMN2* gēns, kas galvenokārt ražo īsu *SMN* proteīnu, kurš nefunkcionē tāpat kā pilna garuma proteīns.

*Spinraza* ir sintētisks antisenses oligonukleotīds (ģenētiskā materiāla veids), kas liek *SMN2* gēnam ražot pilna garuma proteīnu, kurš spēj funkcionēt normāli. Tas aizstāj trūkstošo proteīnu, tādējādi atvieglojot slimības simptomus.

## **Kādas bija *Spinraza* priekšrocības pētījumos?**

Vienā pamatpētījumā ar 121 zīdaiņiem (vidējais vecums 7 mēneši), kuriem bija SMA, tika pierādīts, ka *Spinraza* efektīvi uzlabo kustības salīdzinājumā ar *placebo* (neīstu injekciju).

Vienu gadu pēc ārstēšanas 51 % mazuļu, kuri bija saņēmuši *Spinraza* (37 no 73), tika novērots progress galvas kontrolēšanas, velšanās, sēdēšanas, rāpošanas, stāvēšanas un staigāšanas attīstībā, bet nevienam no mazuļiem, kuri saņēma *placebo*, līdzīgs progress netika novērots. Turklāt vairums mazuļu, kuri tika ārstēti ar *Spinraza*, izdzīvoja ilgāk, un viņiem elpošanas atbalsts bija nepieciešams vēlāk nekā mazuļiem, kuri saņēma *placebo*.

Vēl vienā pētījumā tika vērtēta *Spinraza* efektivitāte bērniem ar mazāk smagu SMA, kas diagnosticēta vēlākā posmā (vidējais vecums 3 gadi). Pēc 15 ārstēšanas mēnešiem 57 % bērnu, kuri saņēma *Spinraza*, uzlabojās kustības, salīdzinot ar 26 % bērnu *placebo* grupā.

## **Kāds risks pastāv, lietojot *Spinraza*?**

Visbiežāk novērotās *Spinraza* blakusparādības (vairāk nekā 1 no 10 pacientiem) ir slikta dūša, sāpes mugurā un vemšana. Tiek uzskatīts, ka šīs blakusparādības izraisa mugurkaulā veiktās injekcijas zāļu ievadīšanai. Mazuļiem dažas blakusparādības nevarēja novērtēt, jo viņi nemācēja pastāstīt par tām.

Pilnu visu blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot *Spinraza*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

## **Kāpēc *Spinraza* tika apstiprināta?**

Eiropas Zāļu aģentūra savā novērtējumā atzina šīs slimības nopietnību un steidzamo vajadzību pēc efektīvām ārstēšanas iespējām.

*Spinraza* ir uzrādījušas spēju nodrošināt klīniski svarīgus uzlabojumus maziem bērniem ar atšķirīgu slimības smaguma pakāpi. Lai gan zāles nav pārbaudītas pacientiem ar vissmagākās un visvieglākās formas SMA, paredzams, ka zāles šiem pacientiem sniegs līdzīgu ieguvumu.

Blakusparādības tika uzskatītas par kontrolējamām, un lielākā daļa blakusparādību bija saistītas ar zāļu ievadīšanas veidu.

Tādēļ aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Spinraza*, pārsniedz šo zāļu radīto risku, un ieteica apstiprināt šīs zāles lietošanai ES.

## **Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Spinraza* lietošanu?**

Uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Spinraza*, pabeigs pašlaik notiekošos pētījumus par šo zāļu ilgtermiņa drošumu un efektivitāti pacientiem ar SMA simptomiem un pacientiem, kuriem simptomi pagaidām vēl neizpaužas.

Turklāt zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Spinraza* lietošanu.

## **Cita informācija par *Spinraza***

Eiropas Komisija 2017. gada 30. maijā izsniedza *Spinraza* reģistrācijas apliecību, kas derīga visā Eiropas Savienībā.

Pilns *Spinraza* EPAR teksts ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Lai saņemtu sīkāku informāciju par ārstēšanu ar *Spinraza*, izlasiet zāļu lietošanas instrukciju (kas arī ir EPAR daļa) vai sazinieties ar ārstu vai farmaceitu.

Retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu komitejas atzinuma kopsavilkums par *Spinraza* ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Šo kopsavilkumu pēdējo reizi atjaunināja 11.2017.