



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Sommarju tal-EPAR għall-pubbliku

---

# Spinraza

nusinersen

Dan huwa sommarju tar-rapport pubbliku Ewropew ta' valutazzjoni (EPAR) għal Spinraza. Dan jispjega kif l-Aġenzija vvalutat il-medicina biex tirrakkomanda l-awtorizzazzjoni tagħha fl-UE u l-kondizzjonijiet ta' użu tagħha. Dan mhux intiż biex jipprovdi konsultazzjoni Prattika dwar l-użu ta' Spinraza.

Għal informazzjoni Prattika dwar l-użu ta' Spinraza, il-pazjenti għandhom jaqraw il-fuljett ta' tagħrif jew jikkuntattjaw lit-tabib jew lill-ispizjar tagħhom.

## X'inhum Spinraza u għal xiex jintuża?

Spinraza hija medicina li tintuża għall-kura ta' atrofiya muskolari tas-sinistra (SMA, spinal muscular atrophy) 5q, marda ġenetika li tikkawża dgħufija u ħela tal-muskoli inkluż il-muskoli tal-pulmun. Il-marda hija marbuta ma' difett fuq il-kromożoma 5q u s-sintomi normalment jibdew ftit wara t-twelid.

Peress li n-numru ta' pazjenti li jbatu minn SMA huwa baxx, il-marda hija kkunsidrata 'rari', u Spinraza ġie kklassifikat bħala 'medicina orfni' (medicina li tintuża f'mard rari) fit-2 ta' April 2012.

Spinraza fih is-sustanza attiva nusinersen.

## Kif jintuża Spinraza?

Spinraza jista' jinkiseb biss b'ricetta ta' tabib u l-kura għandha tinbeda u tiġi ssorveljata minn tabib b'esperjenza fil-kura ta' SMA.

Il-medicina tiġi bħala soluzzjoni għall-injezzjoni f'kunjetta ta' 12 mg. Din tingħata b'injezzjoni intratekali (fil-parti t'isfel tad-dahar, direttament gos-sinistra tad-dahar) minn tabib jew infermier b'esperjenza fit-twettiq ta' din il-proċedura. Jista' jkun li l-pazjent ikun jeħtieġ jiġi sedat (jingħata medicina biex tikkalmah) qabel jingħata 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](http://www.ema.europa.eu/contact)

An agency of the European Union



Id-doża rakkomandata hija ta' 12 mg (kunnett wieħed), li jingħata malajr kemm jista' jkun wara li l-pazjent ikun ġie dijanjostikat b'SMA. L-ewwel doża għandha tiġi segwita minn 3 doži oħra wara ġimagħtejn, 4 u 9 ġimgħat, imbagħad doża waħda kull 4 xhur wara dan. Il-kura għandha tibqa' għaddejja sakemm il-pazjent jibqa' jibbenefika minnha. Għal iktar informazzjoni, ara l-fuljett ta' tagħrif.

## **Kif jaħdem Spinraza?**

Il-pazjenti b'SMA għandhom proteina nieqsa li tissejjaħ proteina 'survival motor neuron' (SMN) (motoneuroni tas-sopravivenza), li hija essenzjali għall-motoneuroni (ċelluli tan-nervituri mis-sinjala tad-dahar li jikkontrollaw il-movimenti tal-muskolu) biex jissopravviva u jiffunzjonaw b'mod normali. Il-proteina SMN hija magħmula minn żewġ ġeni, SMN1 u SMN2. Il-pazjenti b'SMA m'għandhomx il-ġene SMN1 iżda għandhom il-ġene SMN2, li ħafna drabi jipproduċi proteina SMN qasira li ma taħdimx tajjeb daqs proteina ta' tul sħiħ.

Spinraza huwa oligonukleotidu antisens sintetiku (tip ta' materjal ġenetiku) li jippermetti lill-ġene SMN2 jipproduċi proteina ta' tul sħiħ, li tkun tista' taħdem b'mod normali. Din tissostitwixxi l-proteina nieqsa, u b'hekk tnaqqas is-sintomi tal-marda.

## **X'inhuma l-benefiċċji ta' Spinraza li ħarġu mill-istudji?**

Studju ewlieni wieħed, li involva 121 tarbija (ta' età medja ta' 7 xhur) b'SMA, wera li Spinraza huwa effettiv biex itejjeb il-moviment meta mqabbel mal-plaċebo (injezzjoni tal-plaċebo).

Wara sena ta' kura, 51 % tat-trabi li rċiew Spinraza (37 minn 73) urew progress fl-iżvilupp tal-kontroll tar-ras, li jirrumblaw, li joqogħdu bilqiegħda, li jimxu fuq idejhom u rkooptejhom, li joqogħdu bilwieqfa u li jimxu, waqt li ma deher l-ebda progress simili fi kwalunkwe waħda mit-trabi li rċiew il-plaċebo. Barra minn hekk, ħafna mit-trabi kkurati bi Spinraza damu ħajjin għal żmien itwal u kellhom bżonn ta' appoġġ għat-teħid tan-nifs aktar tard minn dawk li ngħataw il-plaċebo.

Studju ieħor ivvalutat l-effettività ta' Spinraza fi tfal li l-SMA tagħhom kienet inqas severa u li ġiet dijanjostikata fi stadju aktar tard (età medja ta' 3 snin). Wara 15-il xahar ta' kura, 57% ta' tfal li rċiew Spinraza wrew titjib fil-moviment meta mqabbla ma' 26% tat-tfal fuq il-plaċebo.

## **X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Spinraza?**

L-effetti sekondarji l-aktar komuni bi Spinraza (li jistgħu jaffettwaw aktar minn persuna 1 minn kull 10) huma uġiġħ ta' ras, uġiġħ ta' dar u rimettar. Dawn l-effetti sekondarji huma maħsuba li jiġu kkawżati mill-injezzjonijiet fis-sinjala tad-dahar li jintużaw biex tingħata l-medicina. Fit-trabi xi wħud mill-effetti sekondarji ma setgħux jiġu vvalutati, peress li huma ma setgħux jikkomunikawhom.

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet kollha rrapportati bi Spinraza, ara l-fuljett ta' tagħrif.

## **Għaliex ġie approvat Spinraza?**

Fil-valutazzjoni tagħha, l-Aġenzija Ewropea għall-Medicini rrikonoxxiet in-natura serja tal-marda u l-ħtieġa urgenti għal kuri effettivi.

Spinraza ntweraw li jwassal għal titjib klinikament sinifikanti fi tfal zġħar bi gradi tas-severità tal-marda li jvarjaw. Għalkemm il-medicina ma ġietx ittestjata f'pazjenti bl-aktar forom severi u ħfief ta' SMA, huwa mistenni li tipprovdi benefiċċji simili lil dawn il-pazjenti.

L-effetti sekondarji ġew ikkunsidrati bħala maniġġevoli, b'ħafna mill-effetti sekondarji li huma relatati mal-mod kif tingħata l-medicina.

Għalhekk, l-Aġenzija ddeċidiet li l-benefiċċji ta' Spinraza huma akbar mir-riskji tiegħu u rrakkomandat li jkun approvat għall-użu fl-UE.

## **X'miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Spinraza?**

Il-kumpanija li tqiegħed Spinraza fis-suq se tkompli studji li għadhom għaddejnin dwar is-sigurtà u l-effettività fit-tul tal-medicina f'pazjenti li jkunu qed juru sintomi ta' SMA u f'pazjenti li għadhom mhumiex juru sintomi.

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi wkoll ir-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Spinraza.

## **Informazzjoni oħra dwar Spinraza**

Il-Kummissjoni Ewropea tat awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq valida fl-Unjoni Ewropea kollha għal Spinraza fit-30 ta' Mejju 2017.

L-EPAR sħiħ għal Spinraza jinstab fuq is-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Għal aktar informazzjoni rigward il-kura bi Spinraza, aqra l-fuljett ta' tagħrif (parti wkoll mill-EPAR) jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

Is-sommarju tal-opinjoni tal-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali Orfni għal Spinraza jinstab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Dan is-sommarju ġie aġġornat l-aħħar f'11-2017.