



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-samenvatting voor het publiek

Spinraza

nusinersen

Dit document is een samenvatting van het Europees openbaar beoordelingsrapport (EPAR) voor Spinraza. Het geeft uitleg over de wijze waarop het Geneesmiddelenbureau het geneesmiddel met het oog op vergunningverlening in de EU en vaststelling van de gebruiksvoorwaarden heeft beoordeeld. Het is niet bedoeld als praktisch advies voor het gebruik van Spinraza.

Lees de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor praktische informatie over het gebruik van Spinraza.

Wat is Spinraza en wanneer wordt het voorgeschreven?

Spinraza is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van 5q spinale spieratrofie (spinal muscular atrophy, SMA), een genetische aandoening die zwakte en wegwijnen veroorzaakt van de spieren, inclusief de longspieren. De aandoening houdt verband met een defect op chromosoom 5q en de symptomen beginnen meestal kort na de geboorte.

Aangezien het aantal patiënten met SMA klein is, wordt de ziekte als 'zeldzaam' beschouwd en werd Spinraza op 2 april 2012 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame ziekten).

Spinraza bevat de werkzame stof nusinersen.

Hoe wordt Spinraza gebruikt?

Spinraza is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gestart door een arts met ervaring in de behandeling van SMA.

Het geneesmiddel is verkrijgbaar als oplossing voor injectie in flacons van 12 mg. Het middel wordt toegediend via injectie in de onderrug, direct in het ruggenmerg, door een arts of verpleegkundige met

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



ervaring in het uitvoeren van deze procedure. De patiënt moet mogelijk een kalmeermiddel krijgen voordat Spinraza wordt toegediend.

De aanbevolen dosis is 12 mg (één flacon) en moet zo spoedig mogelijk worden toegediend nadat de SMA bij de patiënt is vastgesteld. De eerste dosis moet na 2, 4 en 9 weken worden gevolgd door nog 3 doses en elke 4 maanden daarna door één dosis. De behandeling moet worden voortgezet zolang de patiënt er baat bij heeft. Zie de bijsluiters voor meer informatie.

Hoe werkt Spinraza?

Patiënten met SMA hebben een tekort aan een eiwit met de naam 'survival motor neuron' (SMN-eiwit), dat essentieel is voor motorneuronen (zenuwcellen uit het ruggenmerg die spierbewegingen aansturen) om te overleven en normaal te functioneren. Het SMN-eiwit is gemaakt van twee genen, SMN1 en SMN2. Bij patiënten met SMA ontbreekt het SMN1-gen, maar ze hebben het SMN2-gen, waardoor meestal een kort SMN-eiwit ontstaat dat niet zo goed werkt als een eiwit van volledige lengte.

Spinraza is een synthetische antisense oligonucleotide (een soort genetisch materiaal) dat het SMN2-gen in staat stelt om eiwit van volledige lengte te produceren, dat normaal kan werken. Dit vervangt het ontbrekende eiwit, waardoor de symptomen van de ziekte worden verlicht.

Welke voordelen bleek Spinraza tijdens de studies te hebben?

Uit één hoofdstudie onder 121 baby's (met een gemiddelde leeftijd van 7 maanden) met SMA bleek dat Spinraza werkzaam is voor het verbeteren van de mobiliteit in vergelijking met een placebo (schijninjectie).

Na één jaar behandeling vertoonde 51% van de baby's die Spinraza kregen (37 van de 73) vooruitgang bij het ontwikkelen van hoofdbewegingen, rollen, zitten, kruipen, staan en lopen, terwijl bij geen van de baby's die placebo kregen vergelijkbare vooruitgang werd waargenomen. Daarnaast leefden de meeste met Spinraza behandelde baby's langer en hadden ze later ademhalingsondersteuning nodig dan de baby's die placebo kregen.

In een ander onderzoek werd de werkzaamheid van Spinraza beoordeeld bij kinderen van wie de SMA minder ernstig was en in een later stadium (op een gemiddelde leeftijd van 3 jaar) was vastgesteld. Na 15 maanden behandeling liet 57% van de kinderen die Spinraza kregen een verbetering van de mobiliteit zien, vergeleken met 26% van de kinderen die placebo kregen.

Welke risico's houdt het gebruik van Spinraza in?

De meest voorkomende bijwerkingen van Spinraza (die bij meer dan 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn hoofdpijn, rugpijn en braken. Van deze bijwerkingen wordt aangenomen dat ze worden veroorzaakt door de injecties in het ruggenmerg die worden gebruikt om het geneesmiddel toe te dienen. Bij baby's konden niet alle bijwerkingen worden beoordeeld, aangezien niet met de baby's gecommuniceerd kon worden.

Zie de bijsluiters voor het volledige overzicht van alle gerapporteerde bijwerkingen en beperkende voorwaarden voor Spinraza.

Waarom is Spinraza goedgekeurd?

In zijn beoordeling erkende het Europees Geneesmiddelenbureau de ernst van de aandoening en de dringende behoefte aan effectieve behandelingen.

Er is aangetoond dat Spinraza leidt tot klinisch relevante verbeteringen bij jonge kinderen met ziekte van verschillende ernst. Hoewel het geneesmiddel niet is getest bij patiënten met de ernstigste en lichtste vormen van SMA, wordt verwacht dat het bij deze patiënten vergelijkbare voordelen zal opleveren.

De bijwerkingen werden als beheersbaar beschouwd, waarbij de meeste bijwerkingen verband hielden met de manier waarop het geneesmiddel wordt toegediend.

Het Geneesmiddelenbureau heeft derhalve geconcludeerd dat de voordelen van Spinraza groter zijn dan de risico's en heeft geadviseerd Spinraza voor gebruik in de EU goed te keuren.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Spinraza te waarborgen?

Het bedrijf dat Spinraza op de markt brengt zal lopende studies naar de veiligheid en werkzaamheid op lange termijn van het geneesmiddel afronden bij patiënten die symptomen van SMA vertonen en patiënten die nog geen symptomen vertonen.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Spinraza, zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Overige informatie over Spinraza

De Europese Commissie heeft op 30 mei 2017 een in de hele Europese Unie geldige vergunning voor het in de handel brengen van Spinraza verleend.

Het volledige EPAR en de samenvatting van het risicobeheerplan voor Spinraza zijn te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Lees de bijsluiter (ook onderdeel van het EPAR) of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over de behandeling met Spinraza.

De samenvatting van het advies van het Comité voor weesgeneesmiddelen over Spinraza is te vinden op de website van het Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Deze samenvatting is voor het laatst bijgewerkt in 11-2017.