



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Resumo do EPAR destinado ao público

Spinraza

nusinersen

Este é um resumo do Relatório Público Europeu de Avaliação (EPAR) relativo ao Spinraza. O seu objetivo é explicar o modo como a Agência avaliou o medicamento a fim de recomendar a sua autorização na UE, bem como as suas condições de utilização. Não tem por finalidade fornecer conselhos práticos sobre a utilização do Spinraza.

Para obter informações práticas sobre a utilização do Spinraza, os doentes devem ler o Folheto Informativo ou contactar o seu médico ou farmacêutico.

O que é o Spinraza e para que é utilizado?

O Spinraza é um medicamento utilizado no tratamento da atrofia muscular espinhal (*spinal muscular atrophy* - SMA) 5q, uma doença genética que causa fraqueza e atrofia dos músculos, incluindo dos músculos pulmonares. A doença está ligada a uma deficiência no cromossoma 5q e os sintomas surgem, em geral, pouco depois do nascimento.

Dado o número de doentes afetados por SMA ser reduzido, a doença é considerada rara, pelo que o Spinraza foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 2 de abril de 2012.

O Spinraza contém a substância ativa nusinersen.

Como se utiliza o Spinraza?

O Spinraza só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser iniciado por um médico com experiência no tratamento da SMA.

O medicamento está disponível na forma de solução injetável em frascos para injetáveis de 12 mg. É administrado por injeção intratecal (diretamente na medula espinhal, na parte inferior das costas) por



um médico ou enfermeiro com experiência no procedimento. Pode ser necessária a sedação do doente (a administração de um medicamento calmante) antes da administração de Spinraza.

A dose recomendada é de 12 mg (um frasco para injetáveis), administrada o mais cedo possível após o diagnóstico de SMA. A primeira dose deve ser seguida por mais 3 doses, após 2, 4 e 9 semanas, a que se segue a administração de uma dose de 4 em 4 meses. O tratamento deve ser continuado enquanto se mantiver o benefício para o doente. Para mais informações, consulte o Folheto Informativo.

Como funciona o Spinraza?

Os doentes com SMA têm falta de uma proteína denominada «proteína de sobrevivência do neurónio motor» (SMN - *Survival Motor Neuron*), essencial para que os neurónios motores (células nervosas da medula espinhal que controlam o movimento dos músculos) possam sobreviver e funcionar normalmente. A proteína SMN é codificada por dois genes, o SMN1 e o SMN2. Os doentes com SMA apresentam uma deficiência no gene SMN1, mas possuem o gene SMN2, que, em geral, produz uma proteína SMN curta que não funciona tão bem como a proteína de comprimento completo.

O Spinraza é um oligonucleotídeo antisense sintético (um tipo de material genético) que permite que o gene SMN2 produza a proteína de comprimento completo, a qual pode funcionar normalmente. Esta substitui a proteína em falta, aliviando, desta forma, os sintomas da doença.

Quais os benefícios demonstrados pelo Spinraza durante os estudos?

Um estudo principal que incluiu 121 bebés com SMA, com uma idade média de 7 meses, demonstrou que o Spinraza é eficaz na melhoria do movimento em comparação com um placebo (uma injeção simulada).

Após um ano de tratamento, 51 % dos bebés que receberam o Spinraza (37 em 73) apresentaram progressos no desenvolvimento do controlo da cabeça, rebolar, sentar, gatinhar, pôr-se de pé ou andar, enquanto não se observaram progressos semelhantes em nenhum dos bebés que receberam placebo. Além disso, a maioria dos bebés tratados com Spinraza sobreviveu mais tempo e necessitou de suporte respiratório mais tarde do que os bebés que receberam placebo.

Outro estudo avaliou a eficácia do Spinraza em crianças com SMA menos grave diagnosticada numa fase posterior (idade média de 3 anos). Após 15 meses de tratamento, 57 % das crianças tratadas com o Spinraza registaram melhorias no movimento em comparação com 26 % das crianças a receber placebo.

Quais são os riscos associados ao Spinraza?

Os efeitos secundários mais frequentes associados ao Spinraza (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) são dor de cabeça, dores nas costas e vômitos. Pensa-se que estes efeitos secundários sejam causados pelas injeções na medula espinhal para a administração do medicamento. Nos bebés, alguns dos efeitos secundários não puderam ser avaliados, uma vez que não podiam comunicá-los.

Para a lista completa dos efeitos secundários e das restrições de utilização relativamente ao Spinraza, consulte o Folheto Informativo.

Por que foi aprovado o Spinraza?

Na sua avaliação, a Agência Europeia de Medicamentos reconheceu a natureza grave da doença e a necessidade urgente de tratamentos eficazes.

O Spinraza demonstrou produzir melhorias clinicamente significativas em crianças jovens com diversos graus de gravidade da doença. Apesar de o medicamento não ter sido testado em doentes com as formas mais grave e mais ligeira de SMA, espera-se que venha a proporcionar benefícios semelhantes a estes doentes.

Os efeitos secundários foram considerados controláveis, estando a maioria relacionada com o modo de administração.

Por conseguinte, a Agência concluiu que os benefícios do Spinraza são superiores aos seus riscos e recomendou a sua aprovação para utilização na UE.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz do Spinraza?

A empresa que comercializa o Spinraza irá concluir os estudos em curso destinados a avaliar a segurança e eficácia a longo prazo do medicamento em doentes que apresentam sintomas de SMA e doentes que ainda não apresentam sintomas.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram igualmente incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz do Spinraza.

Outras informações sobre o Spinraza

Em 30 de maio de 2017, a Comissão Europeia concedeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a União Europeia, para o medicamento Spinraza.

O EPAR completo relativo ao Spinraza pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Para mais informações sobre o tratamento com o Spinraza, leia o Folheto Informativo (também parte do EPAR) ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

O resumo do parecer emitido pelo Comité dos Medicamentos Órfãos para o Spinraza pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Este resumo foi atualizado pela última vez em 11-2017.