



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Rezumat EPAR destinat publicului

Spinraza

nusinersen

Prezentul document este un rezumat al Raportului public european de evaluare (EPAR) pentru Spinraza. Documentul explică modul în care agenția a evaluat medicamentul, pentru a recomanda autorizarea în Uniunea Europeană (UE) și condițiile de utilizare. Scopul documentului nu este să ofere recomandări practice referitoare la utilizarea Spinraza.

Pentru informații practice privind utilizarea Spinraza, pacienții trebuie să citească prospectul sau să se adreseze medicului sau farmacistului.

Ce este Spinraza și pentru ce se utilizează?

Spinraza este un medicament utilizat pentru tratarea atrofiei musculare spinale 5q (AMS), o boală genetică ce cauzează slăbirea și atrofierea mușchilor, inclusiv a mușchilor pulmonari. Boala este asociată cu un defect al cromozomului 5q, iar simptomele apar de obicei la scurt timp după naștere.

Din cauza numărului mic de pacienți cu AMS, boala este considerată „rară”, iar Spinraza a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 2 aprilie 2012.

Spinraza conține substanța activă nusinersen.

Cum se utilizează Spinraza?

Spinraza se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie inițiat de un medic cu experiență în tratarea AMS.

Medicamentul este disponibil sub formă de soluție injectabilă, în flacoane de 12 mg. Se administrează prin injecție intratecală (în partea de jos a spatelui, direct în coloana vertebrală), de către un medic sau o asistentă medicală cu experiență în realizarea acestei proceduri. Poate fi necesară sedarea pacientului (administrarea unui medicament pentru calmare) înainte de a se administra Spinraza.



Doza recomandată este de 12 mg (un flacon), administrată cât mai curând posibil după diagnosticarea pacientului cu AMS. Prima doză trebuie urmată de alte 3 doze după 2, 4 și 9 săptămâni, apoi se continuă cu câte o doză odată la 4 luni. Tratamentul trebuie continuat cât timp pacientul prezintă beneficii terapeutice. Pentru mai multe informații, citiți prospectul.

Cum acționează Spinraza?

La pacienții cu AMS lipsește o proteină numită proteina pentru „supraviețuirea neuronului motor” (*survival motor neuron*, SMN), care este esențială pentru supraviețuirea și funcționarea normală a neuronilor motori (celule nervoase din măduva spinării, care controlează mișcările mușchilor). Proteina SMN este compusă din două gene, SMN1 și SMN2. Pacienții cu AMS au deficit de gena SMN1, dar posedă gena SMN2, care produce în cea mare parte o proteină SMN scurtă, care nu acționează la fel de bine ca o proteină cu lungime completă.

Spinraza este o oligonucleotidă antisens sintetică (un tip de material genetic) care permite genei SMN2 să producă proteina cu lungime completă, capabilă să acționeze normal. Aceasta înlocuiește proteina lipsă, ameliorând astfel simptomele bolii.

Ce beneficii a prezentat Spinraza pe parcursul studiilor?

Un studiu principal, care a cuprins 121 de sugari (cu vârsta medie de 7 luni) cu AMS, a arătat că Spinraza este eficientă pentru îmbunătățirea mobilității, în comparație cu placebo (injecție simulată).

După un an de tratament, 51 % dintre sugarii cărora li s-a administrat Spinraza (37 din 73) au înregistrat progrese în controlul capului, rostogolit, stat în șezut, mers de-a bușilea, stat în picioare și mers, în schimb niciunul dintre sugarii care au primit placebo nu a înregistrat progrese asemănătoare. În plus, majoritatea sugarilor tratați cu Spinraza au supraviețuit mai mult timp și au avut nevoie de ajutor respirator mai târziu decât cei care au primit placebo.

Un alt studiu a evaluat eficacitatea Spinraza la copiii cu AMS mai puțin gravă și diagnosticată la o vârstă mai avansată (vârsta medie 3 ani). După 15 luni de tratament, 57% din copiii cărora li s-a administrat Spinraza au înregistrat îmbunătățirea mobilității, față de 26% din copiii care au primit placebo.

Care sunt riscurile asociate cu Spinraza?

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Spinraza (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt dureri de cap, dureri de spate și vărsături. Se consideră că aceste reacții adverse sunt cauzate de injecțiile în coloana vertebrală utilizate pentru administrarea medicamentului. La sugari, unele reacții adverse nu au putut fi evaluate, căci aceștia nu puteau să le comunice.

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor raportate asociate cu Spinraza, citiți prospectul.

De ce a fost aprobat Spinraza?

În evaluarea sa, Agenția Europeană pentru Medicamente recunoaște natura gravă a bolii și nevoia urgentă de tratamente eficiente.

S-a demonstrat că Spinraza duce la îmbunătățiri semnificative din punct de vedere clinic la copiii mici care prezintă diferite grade de severitate a bolii. Deși medicamentul nu a fost testat pe pacienții cu cea mai gravă și cu cea mai ușoară formă de AMS, se preconizează că acești pacienți vor înregistra beneficii similare.

Reacțiile adverse sunt considerate gestionabile terapeutic, majoritatea acestora fiind asociate cu modul de administrare al medicamentului.

Prin urmare, agenția a hotărât că beneficiile Spinraza sunt mai mari decât riscurile asociate și a recomandat aprobarea utilizării sale în UE.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Spinraza?

Compania care comercializează Spinraza va finaliza studiile aflate în derulare privind siguranța și eficacitatea pe termen lung a medicamentului la pacienții care prezintă simptome de AMS și la pacienții care încă nu prezintă simptome.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Spinraza, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Alte informații despre Spinraza

Comisia Europeană a acordat o autorizație de punere pe piață pentru Spinraza, valabilă pe întreg teritoriul Uniunii Europene, la 30 mai 2017.

EPAR-ul complet pentru Spinraza este disponibil pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Pentru mai multe informații referitoare la tratamentul cu Spinraza, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Rezumatul avizului Comitetului pentru medicamente orfane pentru Spinraza este disponibil pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Prezentul rezumat a fost actualizat ultima dată în 11-2017.