



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Povzetek EPAR za javnost

Spinraza

nusinersen

To je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Spinraza. Pojasnjuje, kako je agencija ocenila zdravilo, na podlagi česar je priporočila njegovo odobritev v EU in pogoje njegove uporabe. Povzetek ni namenjen zagotavljanju praktičnih nasvetov o njegovi uporabi.

Za praktične informacije o uporabi zdravila Spinraza naj bolniki preberejo navodilo za uporabo ali se posvetujejo z zdravnikom ali farmacevtom.

Kaj je zdravilo Spinraza in za kaj se uporablja?

Spinraza je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje 5q spinalne mišične atrofije (SMA), genetske bolezni, ki povzroča šibkost in atrofijo mišic, tudi dihalnih. Bolezen je povezana z okvaro na kromosomu 5q, simptomi pa se običajno pojavijo kmalu po rojstvu.

Ker je bolnikov s SMA malo, velja ta bolezen za redko, zato je bilo zdravilo Spinraza 2. aprila 2012 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni).

Zdravilo Spinraza vsebuje zdravilno učinkovino nusinersen.

Kako se zdravilo Spinraza uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Spinraza je le na recept, zdravljenje pa mora nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem SMA.

Na voljo je v obliki raztopine za injiciranje v vialah z 12 mg učinkovine. Z intratekalno injekcijo (v spodnji del hrbta, neposredno v hrbtenico) ga daje zdravnik ali medicinska sestra, ki ima izkušnje z izvajanjem tega posega. Pred dajanjem zdravila Spinraza bo bolniku morda treba dati pomirjevalo.

Priporočeni odmerek je 12 mg (ena viala), ki ga je treba dati čim prej po postavitvi diagnoze SMA.

Prvemu odmerku morajo slediti še trije odmerki po 2, 4 in 9 tednih, nato pa en odmerek na vsake štiri

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



mesece. Zdravljenje z zdravilom Spinraza se nadaljuje tako dolgo, dokler je za bolnika koristno. Za več informacij glejte navodilo za uporabo.

Kako zdravilo Spinraza deluje?

Bolnikom s SMA primanjkuje beljakovine, imenovane „beljakovina preživetja motoričnega nevrona“ (SMN), ki je nujna za preživetje in normalno delovanje motoričnih nevronov (živčnih celic v hrbtenjači, ki nadzorujejo gibe mišic). Beljakovino SMN sestavljata dva gena, SMN1 in SMN2. Bolnikom s SMA primanjkuje gena SMN1, gen SMN2 pa imajo, zato se tvori predvsem kratka beljakovina SMN, ki ne deluje enako dobro kot beljakovina s celotno dolžino.

Zdravilo Spinraza je sintetični protismiselni oligonukleotid (vrsta genetskega materiala), ki genu SMN2 omogoči tvorbo beljakovine s celotno dolžino in normalnim delovanjem. S tem nadomesti manjkajočo beljakovino in olajša simptome bolezni.

Kakšne koristi je zdravilo Spinraza izkazalo v študijah?

Ena glavna študija, v katero je bilo vključenih 121 dojenčkov (povprečne starosti 7 mesecev) s SMA, je pokazala, da zdravilo Spinraza v primerjavi s placebom (injekcijo brez zdravilne učinkovine) učinkovito izboljša gibanje.

Po enem letu zdravljenja, se je pri 51 % (37 od 73) dojenčkov, ki so prejeli zdravilo Spinraza pokazalo napredovanje pri razvoju obvladovanja glave, kotaljenja, sedenja, plazenja, stoječega položaja in hoje, pri dojenčkih, ki so prejeli placebo, pa podobno napredovanje ni bilo ugotovljeno v nobenem primeru. Poleg tega so dojenčki, ki so bili zdravljeni z zdravilom Spinraza, večinoma preživeli dlje kot tisti, ki so prejeli placebo, in so podporo dihanju potrebovali pozneje.

V drugi študiji so ocenili učinkovitost zdravila Spinraza pri otrocih, pri katerih je SMA manj huda in je bila diagnoza postavljena pozneje (pri povprečni starosti treh let). Po 15 mesecih zdravljenja, je bilo pri 57 % otrok, ki so prejeli zdravilo Spinraza, ugotovljeno izboljšanje gibanja, medtem ko je bilo med otroci, ki so prejeli placebo, takšnih otrok 26 %.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Spinraza?

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Spinraza (ki lahko prizadenejo več kot 1 osebo od 10) so glavobol, bolečine v hrbtu in bruhanje. Te neželene učinke naj bi povzročale injekcije v hrbtenico, s katerimi se zdravilo daje. Pri dojenčkih določenih neželenih učinkov ni bilo mogoče oceniti zaradi njihove nezmožnosti sporočanja.

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Spinraza glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo Spinraza odobreno?

Evropska agencija za zdravila je v svoji oceni prepoznala resnost bolezni in nujno potrebo po učinkovitem zdravljenju.

Zdravilo Spinraza je pri majhnih otrocih z različno stopnjo resnosti bolezni pokazalo klinično pomembna izboljšanja. Čeprav zdravilo pri bolnikih z najhujšo in najbolj blago obliko SMA ni bilo preskušeno, se pričakujejo podobne koristi zdravljenja tudi pri teh bolnikih.

Neželeni učinki veljajo za obvladljive in so večinoma povezani z načinom dajanja zdravila.

Agencija je zato zaključila, da so koristi zdravila Spinraza večje od z njim povezanih tveganj, in priporočila, da se odobri za uporabo v EU.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Spinraza?

Družba, ki trži zdravilo Spinraza, bo dokončala potekajoče študije dolgoročne varnosti in učinkovitosti zdravila pri bolnikih, ki kažejo simptome SMA, in bolnikih, ki simptomov še ne kažejo.

Priporočila in varnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Spinraza upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za njegovo uporabo.

Druge informacije o zdravilu Spinraza

Evropska komisija je dovoljenje za promet z zdravilom Spinraza, veljavno po vsej Evropski uniji, izdala 30. maja 2017.

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Spinraza je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Spinraza preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek mnenja Odbora za zdravila sirote o zdravilu Spinraza je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 11-2017.