



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/59031/2026
EMA/H/C/004312

Spinraza (*nusinersén*)

Información general en lenguaje claro sobre Spinraza y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Spinraza y para qué se utiliza?

Spinraza es un medicamento que se utiliza para tratar la atrofia muscular espinal (AME) 5q, una enfermedad genética que provoca debilidad y deterioro de los músculos, incluso de los músculos de los pulmones. La enfermedad está relacionada con un defecto en el cromosoma 5q y los síntomas suelen aparecer poco después del nacimiento.

La AME es una enfermedad rara, y Spinraza fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 2 de abril de 2012. Puede encontrar más información sobre la designación de medicamento huérfano en la [página web](#) de la EMA.

Spinraza contiene el principio activo nusinersén.

¿Cómo se usa Spinraza?

Este medicamento solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento debe iniciarlo un médico con experiencia en el tratamiento de la AME.

Se presenta en forma de solución inyectable. Se administra mediante inyección intratecal (en la parte inferior de la espalda, directamente en la columna) por un médico o una enfermera con experiencia en este procedimiento. El paciente puede necesitar sedación (un medicamento tranquilizante) antes de la administración de Spinraza.

Spinraza debe administrarse lo antes posible después de que el paciente haya recibido el diagnóstico de AME. Se debe continuar con el tratamiento mientras resulte beneficioso para el paciente.

Si desea más información sobre el uso de Spinraza, lea el prospecto o consulte a su médico o farmacéutico.

¿Cómo actúa Spinraza?

Los pacientes con AME carecen de una proteína llamada «proteína de supervivencia de la neurona motora» (SMN), que es esencial para que las neuronas motoras (células nerviosas de la médula espinal

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



que controlan los movimientos musculares) puedan sobrevivir y funcionar con normalidad. La proteína SMN se fabrica a partir de dos genes, SMN1 y SMN2. Los pacientes con AME carecen del gen SMN1, pero sí presentan el gen SMN2, que produce principalmente una proteína SMN corta que no funciona tan bien como una proteína de longitud completa.

Spinraza es un oligonucleótido antisentido sintético (un tipo de material genético) que permite al gen SMN2 producir la proteína de longitud completa, que puede funcionar con normalidad. De este modo, se repone la proteína que falta, con lo que se alivian los síntomas de la enfermedad.

¿Qué tipo de estudios se han realizado con Spinraza?

Un estudio principal, realizado en 121 lactantes (con una media de edad de 7 meses) con AME, demostró que Spinraza es eficaz para mejorar los movimientos en comparación con el placebo (inyección simulada).

Al cabo de un año de tratamiento, el 51 % de los lactantes tratados con Spinraza (37 de 73) mostraron cierta evolución en la capacidad para controlar la cabeza, girar, sentarse, gatear, sostenerse de pie y caminar, mientras que no se vio una evolución similar en ninguno de los niños que recibieron el placebo. Además, casi todos los niños tratados con Spinraza sobrevivieron más tiempo y necesitaron apoyo respiratorio más tarde que los tratados con el placebo.

Otro estudio evaluó la eficacia de Spinraza en los niños con AME menos grave y diagnosticada en una fase posterior (media de edad de 3 años). Después de 15 meses de tratamiento, el 57 % de los niños que recibieron Spinraza mostraron una mejoría en el movimiento, en comparación con el 26 % de los niños tratados con placebo.

Los estudios realizados con Spinraza se describen con más detalle en los informes de evaluación del medicamento.

¿Cuáles son los efectos adversos y las restricciones de Spinraza?

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Spinraza se puede consultar en el prospecto.

Los efectos adversos más frecuentes de Spinraza (pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) son dolores de cabeza, dolor de espalda y vómitos. Se cree que estos efectos adversos están provocados por las inyecciones en la columna usadas para administrar el medicamento. En los lactantes no se pudieron evaluar algunos efectos adversos porque no podían comunicarlos.

¿Por qué se ha autorizado Spinraza en la UE?

En su evaluación, la Agencia Europea de Medicamentos reconoció la grave naturaleza de la enfermedad y la necesidad urgente de tratamientos eficaces.

Se ha demostrado que Spinraza logra mejorías clínicamente significativas en niños pequeños con diferentes grados de gravedad. Aunque el medicamento no se ha probado en pacientes con las formas más graves y más leves de AME, se espera que consiga beneficios similares en estos pacientes.

Los efectos adversos se consideraron controlables y la mayoría estuvieron relacionados con la forma de administración del medicamento.

Por tanto, la Agencia consideró que los beneficios de Spinraza eran mayores que los riesgos identificados y recomendó autorizar su uso en la UE.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Spinraza?

La compañía que comercializa Spinraza completará y presentará los resultados de un estudio en curso sobre la seguridad y la eficacia a largo plazo del medicamento en pacientes que aún no presentan síntomas de AME.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Spinraza se han incluido en la Ficha Técnica o Resumen de las Características del Producto y en el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Spinraza se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados de Spinraza se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Spinraza

Spinraza recibió una autorización de comercialización válida en toda la UE el 30 de mayo de 2017.

Puede encontrar más información sobre Spinraza, incluidos el prospecto y el informe de evaluación, en el sitio web de la Agencia: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/spinraza.

Si desea obtener información sobre la disponibilidad de este medicamento en su país, póngase en contacto con la [autoridad nacional competente correspondiente](#).

Fecha de la última actualización del presente resumen: 03-2026.