



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Spinraza (*nusinerseen*)

Lihtne ülevaade ravimist Spinraza ja ELis müügiloo väljastamise põhjendus

Mis on Spinraza ja milleks seda kasutatakse?

Spinraza on ravim, mida kasutatakse 5q spinaalse lihasatroofia raviks. Spinaalne lihasatroofia on geneetiline haigus, mis põhjustab lihaste, sealhulgas hingamislihaste, nõrkust ja kõhetumist. Haigus on seotud defektiga 5. kromosoomi pikas õlas (5q) ja tavaliselt hakkavad sümptomid tekkima üsna pea pärast sündimist.

Spinaalne lihasatroofia esineb harva ja Spinraza nimetati 2. aprillil 2012 harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetamise kohta on [EMA veebilehel](#).

Spinraza sisaldab toimeainet nusinerseeni.

Kuidas Spinrazat kasutatakse?

Spinraza on retseptiravim ja ravi peab alustama spinaalse lihasatroofia ravis kogenud arst.

Spinrazat turustatakse süstelahusena. Ravimit manustab selle protseduuri tegemises kogenud arst või õde intratekaalse süstena (alaselga, otse lülisambakanalisse). Enne Spinraza süstimist võib olla vajalik rahustava ravimi manustamine patsiendile (patsiendi sedateerimine).

Spinrazat tuleb manustada võimalikult kiiresti pärast spinaalse lihasatroofia diagnoosimist patsiendil. Ravi tuleb jätkata, kuni sellest on patsiendile kasu.

Lisateavet Spinraza kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

Kuidas Spinraza toimib?

Spinaalse lihasatroofiaga patsientidel puudub valk nimega „motoneuroni ellujäämise valk“ (SMN, survival (of) motor neuron), mis on motoneuronite (närvirakud seljaajus, mis reguleerivad lihaste liikumist) ellujäämiseks ja normaalseks funktsioneerimiseks hädavajalik. SMN-valku toodetakse kahe geeni põhjal – SMN1 ja SMN2. Spinaalse lihasatroofiaga patsientidel puudub SMN1 geen, kuid neil on SMN2 geen, mille põhjal toodetakse valdavalt lühikest SMN-valku, mis ei toimi nii hästi kui täispikkuses valk.

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



Spinraza on sünteetiline antisenss oligonukleotiid (geneetilise materjali tüüp), mis võimaldab SMN2 geenil toota täispikkuses valku, mis toimiks normaalselt. See asendab puuduva valgu, leevendades seeläbi haiguse sümptomeid.

Mis on uuringute põhjal Spinraza kasulikkus?

Ühes põhiuuringus, kus osales 121 spinaalse lihastroofiaga imikut (keskmine vanus 7 kuud), tõendati Spinraza efektiivsust liikumisvõime parandamisel võrreldes platseeboga (näiva süstega).

Üheaastase ravi järel täheldati 51% Spinrazat saanud lastest (37 last 73st) pea hoidmise, pööramise, istumise, roomamise, seismise ja kõndimise arengut, samas kui sarnast arengut ei täheldatud ühelgi platseebot saanud lapsel. Peale selle elas enamik Spinrazaga ravitud vastsündinuid kauem ja vajadus hingamisaparaadi järele tekkis neil hiljem kui platseebot saanud vastsündinutel.

Praegu toimub veel üks uuring, milles uuritakse Spinraza efektiivsust lastel, kellel on kergem spinaalse lihastroofia vorm ja kelle haigus on diagnoositud hiljem (keskmine vanus 3 aastat). Pärast 15-kuulist ravi paranes liikumisvõime 57%-l Spinrazat saanud lastest ja 26%-l platseebot saanud lastest.

Spinrazaga tehtud uuringuid kirjeldatakse üksikasjalikult ravimi hindamisaruannetes.

Mis on Spinraza kõrvalnähud ja piirangud?

Spinraza kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Spinraza kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) on näiteks peavalu, seljavalu ja oksendamine. Need kõrvalnähud arvatakse olevat tingitud ravimi manustamiseks kasutatavatest seljasüstidest. Vastsündinutel ei saanud hinnata teatud kõrvalnähte, sest nad suuda neid teatada.

Miks Spinraza ELis heaks kiideti?

Oma hinnangus mõistis Euroopa Raviamet haiguse rasket olemust ja edasilükkamatut vajadust efektiivsete ravimeetodite järele.

Spinrazaga on tõendatud kliiniliselt tähenduslik paranemine haiguse erinevate raskusastmetega väikelastel. Kuigi ravimit ei ole uuritud spinaalse lihastroofia kõige raskemate ja kergemate vormidega patsientidel, eeldatakse siiski sarnaste kasulike toimete saavutamist ka nendel patsientidel.

Kõrvalnähte peeti ohjatavaks, kusjuures enamik kõrvalnähte on seotud ravimi manustamisviisiga.

Inimravimite komitee otsustas, et Spinraza kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid, ja soovitas ravimi kasutamise Euroopa Liidus heaks kiita.

Mis meetmed võetakse, et tagada Spinraza ohutu ja efektiivne kasutamine?

Spinraza turustaja täidab ja esitab käimasoleva uuringu tulemused ravimi pikaajalise ohutuse ja efektiivsuse kohta patsientidel, kellel ei ole veel spinaalse lihastroofia sümptomeid.

Spinraza ohutu ja efektiivse kasutamise soovitused ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on samuti lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite korral, tehakse Spinraza kasutamise kohta pidevat järelvalvet. Spinraza oletatavaid teatatud kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Spinraza kohta

Spinraza on saanud müügiloa, mis kehtib kogu ELis, 30. mail 2017.

Lisateave Spinraza kohta, sealhulgas pakendi infoleht ja hindamisaruanne, on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/spinraza.

Kui soovite teada, kas seda ravimit turustatakse teie riigis, võtke ühendust [riikliku pädeva asutusega](#).

Kokkuvõtte viimane uuendus: 3-2026.