



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kokkuvõte üldsusele

Spinraza

nusinerseen

See on ravimi Spinraza Euroopa avaliku hindamisaruande kokkuvõte. Selles selgitatakse, kuidas amet hindas ravimit, et soovitada müügiloo andmist Euroopa Liidus ja kasutustingimusi. Hindamisaruandes ei anta Spinraza kasutamise praktilisi nõuandeid.

Kui vajate Spinraza kasutamise praktilisi nõuandeid, lugege pakendi infolehte või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

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.

Et spinaalse lihasatroofiaga patsientide arv on väike ja see haigus esineb harva, nimetati Spinraza 2. aprillil 2012 harvikravimiks.

Spinraza sisaldab toimeainena nusinerseeni.

Kuidas Spinrazat kasutatakse?

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

Ravimit turustatakse süstelahusena 12 mg viaalides. 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).

Soovitav annus on 12 mg (üks viaal), mis tuleb manustada võimalikult kiiresti pärast spinaalse lihasatroofia diagnoosimist patsiendil. Pärast esimese annuse manustamist tuleb manustada veel 3

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



annust vastavalt 2, 4 ja 9 nädalat hiljem ning seejärel tuleb jätkata ravimi manustamist ühe annuse kaupa iga 4 kuu järel. Ravi tuleb jätkata, kuni sellest on patsiendile kasu. Üksikasjalik teave on pakendi infolehel.

Kuidas Spinraza toimib?

Spinaalse lihastroofiaga 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 lihastroofiaga patsientidel puudub SMN1 geen, kuid neil on SMN2 geen, mille põhjal toodetakse valdavalt lühikest SMN-valku, mis ei toimi nii hästi kui täispikkuses valk.

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.

Milles seisneb uuringute põhjal Spinraza kasulikkus?

Ühes põhiuuringus, kus osales 121 spinaalse lihastroofiaga vastsündinut (kelle keskmine vanus oli 7 kuud), tõendati Spinraza efektiivsust liikumisvõime parandamisel võrreldes platseeboga (toimeaineta süstiga).

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 on käimas 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.

Mis riskid Spinrazaga kaasnevad?

Spinraza kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) on peavalu, seljavalu ja oksendamine. Need kõrvalnähud arvatakse olevat tingitud ravimi manustamiseks kasutatavatest seljasüstidest. Vastsündinutel ei saanud hinnata teatud kõrvalnähtusid, sest nad ei ole võimelised neist teatama.

Spinraza kohta teatatud kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Miks Spinraza 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 ohjatatavateks, 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?

Spinrazat turustav ettevõtte viib lõpuni ravimi pikaajalise ohutuse ja efektiivsuse uuringud spinaalse lihaskatroofia sümptomitega ja veel sümptomiteta patsientidel.

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

Muu teave Spinraza kohta

Euroopa Komisjon andis Spinraza müügiloa, mis kehtib kogu Euroopa Liidus, 30. mail 2017.

Euroopa avaliku hindamisaruande täistekst Spinraza kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Kui vajate Spinrazaga toimuva ravi kohta lisateavet, lugege palun pakendi infolehte (mis on samuti Euroopa avaliku hindamisaruande osa) või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Harvikravimite komitee arvamuse kokkuvõte Spinraza kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Kokkuvõtte viimane uuendus: 11-2017.