



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Spinraza (*nusinersen*)

Aperçu en langage clair de Spinraza et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

### Qu'est-ce que Spinraza et dans quel cas est-il utilisé?

Spinraza est un médicament utilisé pour le traitement de l'amyotrophie spinale 5q (SMA), une maladie génétique qui provoque une faiblesse et une fonte des muscles, y compris des muscles des poumons. La maladie est liée à un défaut sur le chromosome 5q et les symptômes débutent généralement peu après la naissance.

La SMA est une maladie rare, et Spinraza a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 2 avril 2012. Des informations complémentaires sur les désignations de médicaments orphelins sont disponibles sur le [site web de l'EMA](#).

Spinraza contient la substance active nusinersen.

### Comment Spinraza est-il utilisé?

Spinraza n'est délivré que sur ordonnance, et le traitement doit être instauré par un médecin expérimenté dans le traitement de la SMA.

Le médicament est disponible sous la forme d'une solution injectable. Il est administré par injection intrathécale (dans le bas du dos, directement dans la colonne vertébrale) par un médecin ou du personnel infirmier expérimenté dans la réalisation de cette intervention. Le patient a parfois besoin d'être sédaté (on lui administre un médicament destiné à l'apaiser) avant de recevoir Spinraza.

Spinraza doit être administré dès que possible après que le diagnostic de SMA a été posé chez le patient. Le traitement doit se poursuivre aussi longtemps que le patient en tire un bénéfice.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Spinraza, consultez la notice ou contactez votre médecin ou votre pharmacien.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

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

An agency of the European Union



## **Comment Spinraza agit-il?**

Les patients atteints de SMA manquent d'une protéine appelée SMN («survival motor neuron», c'est-à-dire protéine de survie des motoneurones), qui est essentielle à la survie et au fonctionnement normal des motoneurones (cellules nerveuses de la moelle épinière qui contrôlent les mouvements musculaires). La protéine SMN est fabriquée à partir de deux gènes, SMN1 et SMN2. Les patients atteints de SMA sont dépourvus du gène SMN1 mais possèdent le gène SMN2, qui produit principalement une protéine SMN courte qui ne fonctionne pas aussi bien qu'une protéine de pleine longueur.

Spinraza est un oligonucléotide antisens synthétique (un type de matériel génétique) qui permet au gène SMN2 de produire une protéine de pleine longueur, capable de fonctionner normalement. Celle-ci remplace la protéine manquante, atténuant ainsi les symptômes de la maladie.

## **Quels sont les bénéfices de Spinraza démontrés au cours des études?**

Une étude principale, incluant 121 bébés (âgés en moyenne de 7 mois) atteints de SMA, a montré que Spinraza est efficace pour améliorer le mouvement par rapport au placebo (injection simulée).

Après un an de traitement, 51 % des bébés recevant Spinraza (37 sur 73) ont fait des progrès dans les étapes du développement moteur contrôle de la tête, se retourner, s'asseoir, marcher à quatre pattes, se tenir debout et marcher, alors qu'aucun progrès similaire n'a été observé chez aucun des bébés ayant reçu le placebo. De plus, la plupart des bébés traités par Spinraza ont survécu plus longtemps et ont eu besoin d'une assistance respiratoire plus tard que ceux recevant le placebo.

Une autre étude a évalué l'efficacité de Spinraza chez les enfants dont la SMA était moins sévère et diagnostiquée à un stade ultérieur (âge moyen de 3 ans). Après 15 mois de traitement, 57% des enfants recevant Spinraza présentaient une amélioration de leurs mouvements, contre 26% des enfants sous placebo.

Les études réalisées avec Spinraza sont décrites plus en détail dans les rapports d'évaluation du médicament.

## **Quels sont les effets indésirables et les restrictions associés à l'utilisation de Spinraza?**

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Spinraza, voir la notice.

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Spinraza (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont les suivants: maux de tête, maux de dos et vomissements. On pense que ces effets indésirables sont provoqués par les injections dans la colonne vertébrale utilisées pour administrer le médicament. Chez les bébés, certains effets indésirables n'ont pas pu être évalués, les bébés étant incapables de les exprimer.

## **Pourquoi Spinraza est-il autorisé dans l'UE?**

Dans son évaluation, l'Agence européenne des médicaments a reconnu la gravité de la maladie et le besoin urgent de traitements efficaces.

Il a été démontré que Spinraza donnait lieu à des améliorations cliniquement significatives chez les jeunes enfants malades à différents degrés de gravité de la maladie. Bien que le médicament n'ait pas été testé chez les patients présentant les formes les plus sévères et les formes les plus légères de SMA, il devrait apporter des bénéfices similaires à ces patients.

Les effets indésirables ont été considérés comme gérables, la majorité des effets indésirables dépendant de la façon dont le médicament est administré.

L'Agence a dès lors estimé que les bénéfices de Spinraza sont supérieurs à ses risques et a recommandé que l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE soit approuvée.

## **Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Spinraza?**

La société qui commercialise Spinraza complétera et soumettra les résultats d'une étude en cours sur la sécurité et l'efficacité à long terme du médicament chez les patients qui ne présentent pas encore de symptômes de la SMA.

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels des soins de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Spinraza ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Spinraza sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés sous Spinraza sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

## **Autres informations relatives à Spinraza:**

Une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'UE a été délivrée pour Spinraza, le 30 mai 2017.

De plus amples informations sur Spinraza, y compris la notice et le rapport d'évaluation, sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/spinraza](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/spinraza).

Pour obtenir des informations sur la disponibilité de ce médicament dans votre pays, contactez votre [autorité nationale compétente](#).

Dernière mise à jour du présent aperçu: 03-2026.