



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Spinraza (*nusinersen*)

Jednostavan pregled informacija o lijeku Spinraza i zašto je odobren u EU-u

Što je Spinraza i za što se koristi?

Spinraza je lijek namijenjen za liječenje spinalne mišićne atrofije (SMA) uzrokovane mutacijom na kromosomu 5q, genetske bolesti koja uzrokuje slabost i propadanje mišića, uključujući mišiće povezane s radom pluća. Bolest je povezana s oštećenjem na kromosomu 5q, a simptomi obično počinju ubrzo nakon rođenja.

SMA je rijetka bolest, a lijek Spinraza dobio je status „lijeka za rijetku bolest” 2. travnja 2012. Više informacija o statusu lijekova za rijetke bolesti dostupno je na [mrežnom mjestu EMA-e](#).

Spinraza sadrži djelatnu tvar nusinersen.

Kako se Spinraza primjenjuje?

Spinraza se izdaje samo na recept, a liječenje mora započeti liječnik s iskustvom u liječenju SMA-e.

Dostupan je kao otopina za injekciju. Primjenjuje se intratekalnom injekcijom (u donji dio leđa, izravno u kralježnicu), a daje je liječnik ili medicinska sestra s iskustvom u izvođenju tog postupka. Prije nego što se primijeni lijek Spinraza, bolesniku će možda trebati dati sredstvo za sedaciju (smirenje).

Liječenje lijekom Spinraza treba započeti što prije nakon što se bolesniku dijagnosticira SMA. Terapiju je potrebno nastaviti sve dok bolesnik ima od nje koristi.

Za više informacija o primjeni lijeka Spinraza pročitajte uputu o lijeku odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

Kako djeluje Spinraza?

Bolesnicima sa SMA-om nedostaje protein koji se naziva „protein za preživljenje motoričkih neurona” (engl. *survival motor neuron*, SMN), a neophodan je za preživljenje i normalnu funkciju motoričkih neurona (živčane stanice u kralježničnoj moždini koje upravljaju pokretima mišića). Protein SMN sastavljen je od dva gena, SMN1 i SMN2. Bolesnicima sa SMA-om nedostaje gen SMN1, ali imaju gen SMN2 koji uglavnom proizvodi kratki SMN protein koji ne funkcionira onako dobro kao protein pune duljine.

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 je sintetički protusmjerni oligonukleotid (vrsta genetskog materijala) koji genu SMN2 omogućuje proizvodnju proteina pune duljine, tako da protein može funkcionirati normalno. Tako se zamijeni protein koji nedostaje, a to ublažava simptome bolesti.

Koje su koristi od lijeka Spinraza utvrđene u ispitivanjima?

U jednom glavnom ispitivanju, u koje je bilo uključeno 121 dojenče (prosječne dobi od sedam mjeseci) sa SMA-om, pokazalo se da Spinraza učinkovito poboljšava pokretljivost u usporedbi s placebo (lažna injekcija).

Nakon godine dana liječenja, u 51 % dojenčadi (37 od 73) liječene lijekom Spinraza pokazao se napredak u postizanju kontrole glave, prevrtanja, sjedenja, puzanja, stajanja i hodanja, dok sličan napredak nije opažen ni u jednog dojenčeta koje je primalo placebo. Nadalje, većina dojenčadi liječena lijekom Spinraza preživjela je dulje i potporu disanja trebala kasnije nego ona koja je primala placebo.

U drugom ispitivanju procijenjena je učinkovitost lijeka Spinraza u djece u koje je SMA bila manje teška i dijagnosticirana je kasnije (u prosječnoj dobi od tri godine). Nakon 15-mjesečnog liječenja, u 57 % djece koja su primila lijek Spinraza zabilježen je napredak u kretanju, dok taj postotak u djece koja su primala placebo iznosi 26 %.

Ispitivanja provedena za lijek Spinraza detaljnije su opisana u izvješćima o procjeni lijeka.

Koje su nuspojave i ograničenja pri primjeni lijeka Spinraza?

Potpuni popis svih nuspojava i ograničenja zabilježenih pri primjeni lijeka Spinraza potražite u uputi o lijeku.

Najčešće nuspojave lijeka Spinraza (koje se mogu javiti u više od 1 na 10 osoba) jesu glavobolja, bol u leđima i povraćanje. Smatra se da su te nuspojave prouzročene injekcijama u kralježnicu kojima se daje lijek. U dojenčadi nije bilo moguće ocijeniti neke nuspojave zbog nemogućnosti komunikacije.

Zašto je lijek Spinraza odobren u EU-u?

U svojoj procjeni Europska agencija za lijekove prepoznala je ozbiljnu narav ove bolesti i hitnu potrebu za učinkovitim liječenjem.

Pokazalo se da se lijekom Spinraza postižu klinički značajna poboljšanja u male djece s različitim stupnjevima težine bolesti. Iako lijek nije ispitan u bolesnika s najtežim i najblažim oblicima SMA-e, očekuje se da će koristi koje on pruža biti slične i u tih bolesnika.

Smatra se da se nuspojave mogu kontrolirati, pri čemu su najčešće nuspojave povezane s načinom primjene lijeka.

Stoga je Agencija zaključila da koristi od lijeka Spinraza nadmašuju s njim povezane rizike te je preporučila davanje odobrenja za njegovu primjenu u EU-u.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Spinraza?

Tvrtka koja lijek Spinraza stavlja u promet dovršit će i dostaviti rezultate ispitivanja koje je u tijeku o dugoročnoj sigurnosti i učinkovitosti lijeka u bolesnika koji još ne pokazuju simptome SMA-e.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Spinraza nalaze se također u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Spinraza kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave prijavljene za lijek Spinraza pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se sve potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Spinraza

Za lijek Spinraza izdano je odobrenje za stavljanje u promet koje je na snazi u EU-u od 30. svibnja 2017.

Više informacija o lijeku Spinraza, uključujući uputu o lijeku i izvješće o procjeni, dostupno je na mrežnom mjestu Agencije: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/spinraza.

Za informacije o dostupnosti ovog lijeka u vašoj zemlji obratite se svojem [nacionalnom nadležnom tijelu](#)

Pregled informacija posljednji je put ažuriran u 3. 2026.