



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Spinraza (*nuszinerszen*)

A Spinraza-ra vonatkozó közérthető áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Spinraza és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Spinraza az 5q kromoszómához kötött, az izmok – beleértve a légzőizmok – gyengeségét és sorvadását okozó genetikai betegség, a spinális izomatrópia (SMA) kezelésére alkalmazott gyógyszer. A betegség az 5q kromoszóma hibájához köthető és a tünetek általában röviddel a születést követően jelentkeznek.

Mivel az SMA „ritkának” minősül, ezért a Spinraza-t 2012. április 2-án „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az EMA [honlapján](#) található.

A Spinraza hatóanyaga a nuszinerszen.

Hogyan kell alkalmazni a Spinraza-t?

A Spinraza csak receptre kapható, és a terápiát az SMA kezelésében jártas orvosnak kell megkezdenie.

A gyógyszer oldatos injekció formájában kapható. Beadása intratekális injekció (a derék területére, közvetlenül a gerincbe) formájában történik, az eljárás elvégzésében jártas orvos vagy ápoló által. A Spinraza alkalmazása előtt szükséges lehet a beteg szedálására (gyógyszer alkalmazása a beteg megnyugtatása céljából).

A Spinraza-t az SMA diagnózisának felállítása után a lehető leghamarabb be kell adni. A kezelést addig kell folytatni, amíg az a beteg számára előnyös.

A Spinraza alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan fejti ki hatását a Spinraza?

Az SMA-ban szenvedő betegeknél hiányzik a „túlélő motoros neuron” (SMN) nevű fehérje, mely alapvető a motoros neuronok (az izmok mozgását vezérlő gerincvelői idegsejtek) túlélése és megfelelő

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



működése szempontjából. Az SMN fehérje két génből áll, melyek az SMN1 és az SMN2. Az SMA-ban szenvedő betegeknél az SMN1 gén hiányzik, de az SMN2 gén jelen van. Az SMN2 gén többnyire egy rövid SMN fehérjét termel, mely nem működik olyan jól, mint a teljes hosszúságú fehérje.

A Spinraza egy szintetikus antiszensz oligonukleotid (a genetikai anyag egy típusa), mely lehetővé teszi, hogy az SMN2 gén teljes hosszúságú, megfelelő működésre képes fehérjét termeljen. Helyettesíti a hiányzó fehérjét, ezáltal enyhíti a betegség tüneteit.

Milyen előnyei voltak a Spinraza alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy, 121 SMA-ban szenvedő csecsemőt (átlagéletkor 7 hónap) bevonó fő vizsgálat során a Spinraza hatékonynak bizonyult a mozgás javításában placebóval (ál-injekció) összehasonlítva.

Egy év kezelés után a Spinraza-t kapó csecsemők 51%-a (73-ból 37) fejlődést mutatott a fejtartás, átfordulás, ülés, mászás, állás és járás tekintetében, míg a placebóval kezelt csecsemők egyikénél sem figyeltek meg hasonló fejlődést. Továbbá, a Spinraza-val kezelt csecsemők többségénél hosszabb túlélés és csak később jelentkező légzéztámogatási igény volt jellemző, szemben a placebóval kezelttel.

Egy másik vizsgálatban a Spinraza hatékonyságát kevésbé súlyos és későbbi stádiumban diagnosztizált (átlagéletkor 3 év) SMA-ban szenvedő gyermekeknél értékelték. 15 hónapos kezelést követően a Spinraza-t kapó gyermekek 57%-ánál mutatkozott javulás szemben a placebót kapó gyermekek 26%-ával.

A Spinraza-val végzett vizsgálatok részletesebb leírása a gyógyszer értékelő jelentéseiben található.

Milyen mellékhatásokkal és korlátozásokkal jár a Spinraza alkalmazása?

A Spinraza alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Spinraza leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a fejfájás, hátfájás és a hányás. Ezeket a mellékhatásokat valószínűleg a gyógyszer alkalmazásakor a gerincbe adott injekciók okozzák. A csecsemőknél néhány mellékhatást nem tudtak értékelni, mivel a csecsemők nem tudták azokról beszámolni.

Miért engedélyezték a Spinraza forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az Ügynökséghez tartozó emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP) vizsgálata során elismerte a betegség súlyos jellegét és a hatékony kezelés sürgős szükségességét.

A Spinraza klinikailag jelentős javuláshoz vezetett olyan fiatal gyermekeknél, akiknél a betegség súlyossága különböző szintű volt. Bár a gyógyszert az SMA legsúlyosabb és legenyhébb formáiban szenvedő betegeknél nem vizsgálták, az várhatóan hasonló előnyöket nyújt ezen betegek esetében.

A mellékhatásokat kezelhetőnek tekintették. A legtöbb mellékhatás a gyógyszerbeadás módjával függött össze.

A CHMP ezért megállapította, hogy a Spinraza alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszer EU-ban való alkalmazásának jóváhagyását.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Spinraza biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Spinraza-t forgalmazó vállalat befejezi és benyújtja a gyógyszer hosszú távú biztonságosságára és hatásosságára vonatkozó, folyamatban lévő vizsgálat eredményeit olyan betegeknél, akiknél még nem jelentkeznek az SMA tünetei.

Az Spinraza biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Spinraza alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Spinraza alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Spinraza-val kapcsolatos egyéb információ

2017. május 30-án a Spinraza az Európai Unió egész területére érvényes forgalombahozatali engedélyt kapott.

A Spinraza-val kapcsolatban további információ, a betegtájékoztatót és az értékelő jelentést is beleértve, az Ügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/spinraza.

Amennyiben tájékozódni szeretne arról, hogy a gyógyszer elérhető-e az Ön országában, vegye fel a kapcsolatot az [illetékes nemzeti hatóság](#)

illetékes nemzeti hatósággal. Az áttekintés utolsó aktualizálása: 03-2026.