



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Spinraza (*nusinersen*)

Sintesi in linguaggio semplice di Spinraza e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è e per cosa si usa Spinraza?

Spinraza è un medicinale utilizzato per trattare l'atrofia muscolare spinale (SMA) 5q, una malattia genetica che provoca debolezza e atrofia muscolare, anche dei muscoli polmonari. La malattia è associata a un difetto del cromosoma 5q e i sintomi generalmente iniziano poco dopo la nascita.

La SMA è rara e Spinraza è stato qualificato come «medicinale orfano» (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 2 aprile 2012. Ulteriori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul [sito web](#) dell'EMA.

Spinraza contiene il principio attivo nusinersen.

Come si usa Spinraza?

Spinraza può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere iniziato da un medico esperto nella gestione della SMA.

Il medicinale è disponibile in soluzione iniettabile. Viene somministrato mediante iniezione intratecale (nella parte bassa della schiena, direttamente nella colonna vertebrale) da un medico o un infermiere esperto nell'esecuzione di questa procedura. Può essere necessario sedare il paziente (somministrare un medicinale per calmarlo) prima di somministrare Spinraza.

Spinraza deve essere somministrato non appena viene diagnosticata la SMA. Il trattamento deve proseguire fino a quando il paziente ne trae beneficio.

Per maggiori informazioni sull'uso di Spinraza, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Spinraza?

I pazienti con SMA sono privi di una proteina detta "fattore di sopravvivenza dei motoneuroni" (*survival motor neuron*, SMN), che è essenziale per la sopravvivenza e il normale funzionamento dei motoneuroni (cellule nervose del midollo spinale che controllano i movimenti muscolari). La proteina

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



SMN è prodotta da due geni, SMN1 e SMN2. I pazienti con SMA sono privi del gene SMN1 ma hanno il gene SMN2 che per lo più produce una proteina SMN corta che non funziona quanto una proteina di lunghezza completa.

Spinraza è un oligonucleotide antisenso (un tipo di materiale genetico) sintetico che consente al gene SMN2 di produrre la proteina di lunghezza completa, in grado di funzionare normalmente. Questo sostituisce la proteina mancante, alleviando così i sintomi della malattia.

Quali benefici di Spinraza sono stati evidenziati negli studi?

Uno studio principale, che ha coinvolto 121 neonati (di età media di 7 mesi) con SMA, ha mostrato che Spinraza è efficace nel migliorare il movimento se confrontato con il placebo (iniezione fittizia).

Dopo un anno di trattamento, nel 51 % dei neonati a cui era stato somministrato Spinraza (37 su 73) si sono osservati progressi nello sviluppo del controllo della testa, rotolamento, capacità di star seduti, gattonamento, capacità di stare in posizione eretta e deambulazione, mentre non è stato osservato alcun progresso simile nei neonati che avevano ricevuto il placebo. Inoltre, la maggior parte dei neonati trattati con Spinraza è sopravvissuta più a lungo e ha richiesto una respirazione assistita più tardi rispetto a coloro che avevano ricevuto il placebo.

Un altro studio ha valutato l'efficacia di Spinraza nei bambini la cui SMA era meno grave ed è stata diagnosticata in una fase successiva (età media di 3 anni). Dopo 15 mesi di trattamento, il 57 % dei bambini trattati con Spinraza ha mostrato un miglioramento del movimento rispetto al 26 % dei bambini a cui è stato somministrato placebo.

Gli studi effettuati su Spinraza sono descritti più dettagliatamente nelle relazioni di valutazione del medicinale.

Quali sono gli effetti indesiderati e le limitazioni di Spinraza?

Per l'elenco completo degli effetti indesiderati e delle limitazioni rilevati con Spinraza, vedere il foglio illustrativo.

Gli effetti indesiderati più comuni di Spinraza (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono mal di testa, mal di schiena e vomito. Si ritiene che questi effetti indesiderati siano causati dalle iniezioni nella colonna vertebrale effettuate per somministrare il medicinale. Nei neonati non è stato possibile valutare alcuni effetti indesiderati, in quanto erano incapaci di esprimerli.

Perché Spinraza è autorizzato nell'UE?

Nella sua valutazione, l'Agenzia europea per i medicinali ha riconosciuto la natura grave della malattia e l'urgente necessità di trattamenti efficaci.

Spinraza ha dimostrato di determinare miglioramenti clinicamente significativi in bambini piccoli con malattia in diversi gradi di gravità. Sebbene il medicinale non sia stato testato in pazienti che presentavano le forme più gravi e quelle più lievi di SMA, si prevede che fornisca benefici simili a questi pazienti.

Gli effetti indesiderati sono stati considerati come gestibili, in quanto la maggior parte di essi è correlata alla via di somministrazione del medicinale.

Pertanto, il CHMP ha deciso che i benefici di Spinraza sono superiori ai rischi e ha raccomandato che ne venisse approvato l'uso nell'UE.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Spinraza?

La ditta che commercializza Spinraza completerà e presenterà i risultati di uno studio in corso sulla sicurezza e sull'efficacia a lungo termine del medicinale in pazienti che non presentano ancora sintomi di SMA.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Spinraza sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Spinraza sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Spinraza sono valutati attentamente e si intraprendono tutte le azioni necessarie per salvaguardare i pazienti.

Altre informazioni su Spinraza

Spinraza ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il 30 maggio 2017.

Ulteriori informazioni su Spinraza, compresi il foglio illustrativo e la relazione di valutazione, sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/spinraza.

Per informazioni sulla disponibilità di questo medicinale nel proprio paese, contattare l'[autorità nazionale competente](#).

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 03-2026.