



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Spinraza (*nusinersenas*)

Paprasta kalba parengta Spinraza apžvalga ir paaiškinimas, kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Spinraza ir kam jis vartojamas?

Spinraza – tai vaistas, kuriuo gydoma 5q spinalinė raumenų atrofija (SRA) – genetinė liga, kuri sukelia raumenų, įskaitant plaučių raumenis, susilpnėjimą ir raumenų masės mažėjimą. Ši liga siejama su chromosomos 5q defektu ir paprastai jos simptomai pasireiškia vos gimus.

SRA laikoma reta liga, todėl 2012 m. balandžio 2 d. Spinraza buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams galima rasti EMA [interneto svetainėje](#).

Spinraza sudėtyje yra veikliosios medžiagos nusinerseno.

Kaip vartoti Spinraza?

Spinraza galima įsigyti tik pateikus receptą, ir gydymą šiuo vaistu turi pradėti gydytojas, turintis SRA gydymo patirties.

Gaminamas šio vaisto injekcinis tirpalas. Šis vaistas leidžiamas į povoratinklinę ertmę (apatinę nugaros dalį, tiesiai į stuburą). Injekciją atlieka gydytojas arba slaugytojas, turintis šios procedūros taikymo patirties. Prieš švirkščiant Spinraza, pacientui gali tekti suleisti raminamųjų vaistų.

Pacientui nustačius SRA diagnozę, Spinraza reikia skirti kuo greičiau. Gydymą reikia tęsti tol, kol jis yra naudingas pacientui.

Daugiau informacijos apie Spinraza vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Spinraza?

SRA sergančių pacientų organizme nėra baltymo, vadinamo motoneurono išgyvenamumo (angl. *survival motor neuron*, SMN) baltymu, kuris būtinas tam, kad motoneuronai (stuburo smegenų nervų ląstelės, kurios kontroliuoja raumenų judesius) nežūtų ir normaliai funkcionuotų. SMN baltymą gamina

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



du genai – SMN1 ir SMN2. SRA sergantys pacientai neturi SMN1 geno, bet turi SMN2 geną, kuris daugiausia gamina sutrumpėjusį SMN baltymą; jis funkcionuoja ne taip gerai, kaip viso ilgio baltymas.

Spinraza yra sintetinis priešsprasmis oligonukleotidas (genetinė medžiaga), dėl kurio SMN2 genas gali gaminti viso ilgio baltymą, kuris geba normaliai funkcionuoti. Juo pakeičiamas trūkstamas baltymas ir taip numalšinami ligos simptomai.

Kokia Spinraza nauda nustatyta tyrimų metu?

Viename pagrindiniame tyrime su 121 SRA sergančiu kūdikiu (jų amžiaus vidurkis – 7 mėnesiai), nustatyta, kad Spinraza veiksmingiau už placebo (netikrą injekciją) pagerina pacientų judėjimo funkciją.

Po vienu gydymo metų nustatyta, kad 51 proc. (37 iš 73) kūdikių, kurie buvo gydomi Spinraza, galvos valdymo, vartymosi, sėdėjimo, ropojimo, stovėjimo ir ėjimo funkcijų vystymasis pagerėjo, o kūdikių, kuriems buvo paskirtas placebo, grupėje tokios pažangos nenumatyta. Be to, dauguma Spinraza gydytų kūdikių išgyveno ilgiau ir jiems pagalbos kvėpuojant prireikė vėliau, nei tiems kūdikiams, kuriems buvo paskirtas placebo.

Kitame tyrime vertintas Spinraza veiksmingumas vaikams, kurie sirgo lengvesnės formos SRA ir kuriems ši liga buvo diagnozuota vėlesniame etape (esant vidutiniškai 3 metų amžiaus). Po 15 mėnesių gydymo judėjimo funkcija pagerėjo 57 proc. Spinraza ir 26 proc. placebo gydytų vaikų.

Su Spinraza atlikti tyrimai išsamiau aprašyti vaisto vertinimo protokoluose.

Koks yra Spinraza šalutinis poveikis ir kokie yra jo vartojimo apribojimai?

Išsamų visų šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų vartojant Spinraza sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Dažniausias Spinraza šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra galvos skausmas, nugaros skausmas ir vėmimas. Manoma, kad šį šalutinį poveikį sukelia injekcijos į stuburą, kadangi būtent taip šis vaistas yra vartojamas. Kūdikiams kai kurio šalutinio poveikio nebuvo įmanoma nustatyti, nes jie negalėjo apie juos pasakyti.

Kodėl Spinraza buvo registruotas ES?

Atlikdama vertinimą, Europos vaistų agentūra pripažino, kad ši liga yra sunki ir kad būtina kuo greičiau rasti veiksmingų jos gydymo būdų.

Nustatyta, kad taikant gydymą Spinraza, įvairaus sunkumo liga sergantiems mažiems vaikams pasireiškia kliniškai reikšmingas sveikatos būklės pagerėjimas. Nors šis vaistas neišbandytas su pacientais, kurie serga sunkiausios ir lengviausios formos SRA, manoma, kad šiems pacientams šis vaistas turėtų pasireikšti panašus teigiamas poveikis.

Laikytasi nuomonės, kad šio vaisto sukeliama šalutinį poveikį galima kontroliuoti, kadangi daugeliu atvejų jis susiję su tuo, kaip šis vaistas vartojamas.

Todėl Agentūra nusprendė, kad Spinraza nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir rekomendavo leisti vartoti šį vaistą ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Spinraza vartojimą?

Spinraza prekiaujanti bendrovė užbaigs šiuo metu atliekamą vaisto ilgalaikio saugumo ir veiksmingumo pacientams, kuriems dar nepasireiškė SRA simptomai, tyrimą ir pateiks jo rezultatus.

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Spinraza vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Spinraza vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Įtariamas Spinraza šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Spinraza

Spinraza buvo registruotas visoje ES 2017 m. gegužės 30 d.

Daugiau informacijos apie Spinraza, įskaitant pakuotės lapelį ir vertinimo protokolą, rasite Agentūros tinklalapyje adresu: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/spinraza.

Norėdami sužinoti, ar šis vaistas prieinamas jūsų šalyje, kreipkitės į savo [Nacionalinę kompetentingą instituciją](#).

Ši apžvalga paskutinį kartą atnaujinta 2026-03.