



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Spinraza (nuzinersēns)

Pārskats vienkāršā valodā par *Spinraza* un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir *Spinraza* un kāpēc tās lieto?

Spinraza ir zāles, ko lieto, lai ārstētu 5q spinālo muskuļu atrofiju (SMA) — ģenētisku slimību, kas izraisa muskuļu, tostarp plaušu muskuļu, vājumu un izdilšanu. Šī slimība ir saistīta ar hromosomas 5q defektu, un simptomi parasti parādās neilgi pēc dzimšanas.

SMA ir reta slimība, un 2012. gada 2. aprīlī *Spinraza* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama [EMA tīmekļa vietnē](#).

Spinraza satur aktīvo vielu nuzinersēnu.

Kā lieto *Spinraza*?

Spinraza var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana jāuzsāk ārstam ar pieredzi SMA ārstēšanā.

Zāles ir pieejamas kā injekciju šķīdums. Tās intratekālas injekcijas veidā (muguras apakšdaļā, tieši mugurkaulā) ievada ārsts vai medmāsa ar pieredzi šādas procedūras veikšanā. Pirms *Spinraza* ievadīšanas pacientam var būt nepieciešama sedācija (nomierinošu zāļu lietošana).

Spinraza jāievada, cik drīz vien iespējams, pēc tam, kad pacientam ir diagnosticēta SMA. Ārstēšanu turpina tik ilgi, kamēr pacientam no tās ir ieguvums.

Papildu informāciju par *Spinraza* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

Kā *Spinraza* darbojas?

SMA pacientiem trūkst proteīna, ko sauc par "izdzīvošanas motoneironu" (SMN) proteīnu, un tas ir nozīmīgs motoneironu (muskuļu kustības kontrolējošo muguras smadzeņu nervu šūnu) izdzīvošanai un normālai darbībai. SMN proteīna veidošanos nosaka divi gēni — SMN1 un SMN2. SMA pacientiem trūkst SMN1 gēna, bet ir SMN2 gēns, kas galvenokārt ražo īsu SMN proteīnu, kurš nefunkcionē tāpat kā pilna garuma proteīns.

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 ir sintētisks antisensa oligonukleotīds (ģenētiskā materiāla veids), kas liek SMN2 gēnam ražot pilna garuma proteīnu, kurš spēj funkcionēt normāli. Tas aizstāj trūkstošo proteīnu, tādējādi atvieglojot slimības simptomus.

Kādas bija *Spinraza* priekšrocības pētījumos?

Vienā pamatpētījumā ar 121 zīdaiņiem (vidējais vecums 7 mēneši), kuram bija SMA, tika pierādīts, ka *Spinraza* efektīvi uzlabo kustības salīdzinājumā ar placebo (neīstu injekciju).

Pēc vienu gadu ilgas ārstēšanas 51 % mazuļu, kuri bija saņēmuši *Spinraza* (37 no 73), tika novērots progress galvas kontrolēšanas, velšanās, sēdēšanas, rāpošanas, stāvēšanas un staigāšanas attīstībā, bet nevienam no mazuļiem, kuri saņēma placebo, līdzīgs progress netika novērots. Turklāt vairums mazuļu, kuri tika ārstēti ar *Spinraza*, izdzīvoja ilgāk, un viņiem elpošanas atbalsts bija nepieciešams vēlāk nekā mazuļiem, kuri saņēma placebo.

Vēl vienā pētījumā tika vērtēta *Spinraza* efektivitāte bērniem ar mazāk smagu SMA, kas diagnosticēta vēlākā posmā (vidējais vecums 3 gadi). Pēc 15 ārstēšanas mēnešiem 57 % bērnu, kuri saņēma *Spinraza*, uzlabojās kustības, salīdzinot ar 26 % bērnu placebo grupā.

Ar *Spinraza* veiktie pētījumi ir sīkāk aprakstīti zāļu novērtējuma ziņojumos.

Kādas ir *Spinraza* blakusparādības un ierobežojumi?

Pilnu visu blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot *Spinraza*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Visbiežāk novērotās *Spinraza* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 cilvēkiem) ir galvassāpes, sāpes mugurā un vemšana. Tiek uzskatīts, ka šīs blakusparādības izraisa mugurkaulā veiktās injekcijas zāļu ievadīšanai. Mazuļiem dažas blakusparādības nevarēja novērtēt, jo viņi nemācēja pastāstīt par tām.

Kāpēc *Spinraza* ir reģistrēta ES?

Eiropas Zāļu aģentūra savā novērtējumā atzina šīs slimības nopietnību un steidzamo vajadzību pēc efektīvām ārstēšanas iespējām.

Pierādīts, ka *Spinraza* spēj nodrošināt klīniski nozīmīgus uzlabojumus maziem bērniem ar dažādu slimības smaguma pakāpi. Lai gan zāles nav pārbaudītas pacientiem ar vissmagākās un visvieglākās formas SMA, paredzams, ka zāles šiem pacientiem sniegs līdzīgu ieguvumu.

Blakusparādības tika uzskatītas par kontrolējamām, un lielākā daļa blakusparādību bija saistītas ar zāļu ievadīšanas veidu.

Tādēļ aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Spinraza*, pārsniedz šo zāļu radīto risku, un ieteica apstiprināt šīs zāles lietošanai ES.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Spinraza* lietošanu?

Uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Spinraza*, pabeigs un iesniegs pašlaik notiekošā pētījuma rezultātus par zāļu ilgtermiņa drošumu un efektivitāti pacientiem, kuriem vēl nav SMA simptomu.

Turklāt zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Spinraza* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Spinraza* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Spinraza* lietošanu saistītās iespējamās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Spinraza*

2017. gada 30. maijā *Spinraza* saņēma reģistrācijas apliecību, kas derīga visā ES.

Sīkāka informācija par *Spinraza*, tostarp lietošanas instrukcija un novērtējuma ziņojums, ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/spinraza.

Lai saņemtu informāciju par šo zāļu pieejamību jūsu valstī, sazinieties ar [Valsts kompetentā iestāde](#)

Šis pārskats pēdējo reizi tika atjaunināts 2026. gada martā.