



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Spinraza (*nusinersen*)

Ħarsa ġenerali b'lingwaġġ sempliċi ta' Spinraza u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Spinraza u għal xiex jintuża?

Spinraza hija mediċina li tintuża għat-trattament ta' atrofiya muskolari tas-sinla (SMA, spinal muscular atrophy) 5q, marda ġenetika li tikkawża dgħufija u heġa tal-muskoli inkluż il-muskoli tal-pulmun. Il-marda hija marbuta ma' difett fuq il-kromożoma 5q u s-sintomi normalment jibdew ftit wara t-twelid.

SMA hija rari, u Spinraza ġie denominat bħala "mediċina orfni" (mediċina li tintuża f'mard rari) fit-2 ta' April 2012. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tinstab fuq is-[sit web](#) tal-EMA.

Spinraza fih is-sustanza attiva nusinersen.

Kif jintuża Spinraza?

Spinraza jista' jinkiseb biss b'riċetta ta' tabib u t-trattament għandu jinbeda u jiġi ssorveljat minn tabib b'esperjenza fit-trattament ta' SMA.

Il-mediċina tiġi bħala soluzzjoni għall-injezzjoni. Din tingħata b'injezzjoni intratekali (fil-parti t'isfel tad-dahar, direttament ġos-sinla tad-dahar) minn tabib jew infermier b'esperjenza fit-twettiq ta' din il-proċedura. Jista' jkun li l-pazjent ikun jeġtieg jingħata sedazzjoni (jingħata mediċina biex tikkalmah) qabel ma jingħata Spinraza.

Spinraza għandu jingħata malajr kemm jista' jkun wara li l-pazjent ikun ġie dijanjostikat bl-SMA. It-trattament għandu jibqa' għaddej sakemm il-pazjent jibqa' jibbenefika minnu.

Għal aktar informazzjoni dwar l-użu ta' Spinraza, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

Kif jaħdem Spinraza?

Il-pazjenti b'SMA għandhom proteina nieqsa li tissejjaħ proteina "motoneuroni tas-sopravivenza" (SMN - survival motor neuron), li hija essenzjali għall-motoneuroni (ċelluli tan-nervituri mis-sinla tad-dahar li jikkontrollaw il-movimenti tal-muskolu) biex jissopravviva u jiffunzjonaw b'mod normali. Il-proteina SMN hija magħmula minn żewġ ġeni, SMN1 u SMN2. Il-pazjenti b'SMA m'għandhomx il-ġene SMN1

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



iżda għandhom il-ġene SMN2, li ħafna drabi jipproduċi proteina SMN qasira li ma taħdimx tajjeb daqs proteina ta' tul sħiħ.

Spinraza huwa oligonukleotidu antisens sintetiku (tip ta' materjal ġenetiku) li jippermetti lill-ġene SMN2 jipproduċi proteina ta' tul sħiħ, li tkun tista' taħdem b'mod normali. Din tissostitwixxi l-proteina nieqsa, u b'hekk tnaqqas is-sintomi tal-marda.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Spinraza li ħarġu mill-istudji?

Studju ewlieni wieħed, li involva 121 tarbija (ta' età medja ta' 7 xhur) b'SMA, wera li Spinraza huwa effettiv biex itejjeb il-moviment meta mqabbel mal-plaċebo (injezzjoni tal-plaċebo).

Wara sena ta' trattament, 51 % tat-trabi li ngħataw Spinraza (37 minn 73) urew progress fl-iżvilupp tal-kontroll tar-ras, li jirrumblaw, li joqogħdu bilqiegħda, li jimxu fuq idejhom u rkopptejhom, li joqogħdu bilwieqfa u li jimxu, waqt li ma deher l-ebda progress simili fi kwalunkwe waħda mit-trabi li ngħataw il-plaċebo. Barra minn hekk, ħafna mit-trabi li ngħataw trattament bi Spinraza damu ħajjin għal żmien itwal u kellhom bżonn ta' appoġġ għat-teħid tan-nifs aktar tard minn dawk li ngħataw il-plaċebo.

Studju ieħor iġvaluta l-effikaċja ta' Spinraza fi tfal li l-SMA tagħhom kienet inqas severa u li għet dijanjostikata fi stadju aktar tard (età medja ta' 3 snin). Wara 15-il xahar ta' trattament, 57 % ta' tfal li ngħataw Spinraza wrew titjib fil-moviment meta mqabbla ma' 26 % tat-tfal fuq il-plaċebo.

L-istudji li saru bi Spinraza huma deskritti f'aktar dettall fir-rapporti ta' valutazzjoni tal-medicina.

X'inhuma l-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet bi Spinraza?

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet kollha rrapportati bi Spinraza, ara l-fuljett ta' tagħrif.

L-effetti sekondarji l-aktar komuni bi Spinraza (li jistgħu jaffettwaw aktar minn persuna 1 minn kull 10) jinkludu wġiġh ta' ras, uġiġh ta' dar u rimettar. Dawn l-effetti sekondarji huma maħsuba li jiġu kkawżati mill-injezzjonijiet fis-sinla tad-dahar li jintużaw biex tingħata l-medicina. Fit-trabi xi wħud mill-effetti sekondarji ma setgħux jiġu vvalutati, peress li ma setgħux jikkomunikawhom.

Għaliex Spinraza ġie awtorizzat fl-UE?

Fil-valutazzjoni tagħha, l-Aġenzija Ewropea għall-Medicini rrikonoxxiet in-natura serja tal-marda u l-ħtieġa urgenti għal trattamenti effettivi.

Spinraza ntweraw li jwassal għal titjib klinikament sinifikanti fi tfal zġħar bi gradi tas-severità tal-marda li jvarjaw. Għalkemm il-medicina ma għetx ittestjata f'pazjenti bl-aktar forom severi u ħfief ta' SMA, huwa mistenni li ttiprovdi benefiċċji simili lil dawn il-pazjenti.

L-effetti sekondarji ġew ikkunsidrati bħala manigġabbli, u ħafna mill-effetti sekondarji huma relatati mal-mod ta' kif tingħata l-medicina.

Għalhekk, l-Aġenzija ddecidiet li l-benefiċċji ta' Spinraza huma akbar mir-riskji tiegħu u rrakkomandat li jkun approvat għall-użu fl-UE.

X'miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Spinraza?

Il-kumpanija li tqiegħed Spinraza fis-suq se tikkonkludi u tissottometti r-riżultati ta' studju li għadu għaddej dwar is-sigurtà u l-effikaċja fit-tul tal-mediċina f'pazjenti li għadhom mhumiex juru sintomi ta' SMA.

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi wkoll ir-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Spinraza.

Bħal fil-każ tal-mediċini kollha, id-*data* dwar l-użu ta' Spinraza hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji ssuspettati rrapportati bi Spinraza huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tipproteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Spinraza

Spinraza rċieva awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq valida fl-UE kollha fit-30 ta' Mejju 2017.

Aktar informazzjoni dwar Spinraza, inkluż il-fuljett ta' tagħrif u r-rapport ta' valutazzjoni, tinstab fuq is-sit web tal-Aġenzija: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/spinraza.

Għal informazzjoni dwar id-disponibbiltà ta' din il-mediċina f'pajjiżek, ikkuntattja lil [awtorità nazzjonali kompetenti](#)

Din il-ħarsa ġenerali ġiet aġġornata l-aħħar f'03-2026.