



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Spinraza (*nusinersen*)

Een overzicht in begrijpelijke taal van Spinraza en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Spinraza en wanneer wordt het voorgeschreven?

Spinraza is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van 5q spinale spieratrofie (spinal muscular atrophy, SMA), een genetische aandoening die zwakte en wegwijnen veroorzaakt van de spieren, inclusief de longspieren. De aandoening houdt verband met een defect op chromosoom 5q en de symptomen beginnen meestal kort na de geboorte.

SMA is zeldzaam en Spinraza werd op 2 april 2012 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel is te vinden op de [website](#) van het Europees Geneesmiddelenbureau.

Spinraza bevat de werkzame stof nusinersen.

Hoe wordt Spinraza gebruikt?

Spinraza is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gestart door een arts met ervaring in de behandeling van SMA.

Het middel is beschikbaar in de vorm van een oplossing voor injectie. Het middel wordt toegediend via injectie in de onderrug, direct in het ruggenmerg, door een arts of verpleegkundige met ervaring in het uitvoeren van deze procedure. De patiënt moet mogelijk een kalmeermiddel krijgen voordat Spinraza wordt toegediend.

Spinraza moet zo snel mogelijk worden toegediend nadat bij de patiënt SMA is vastgesteld. De behandeling moet worden voortgezet zolang de patiënt er baat bij heeft.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Spinraza.

Hoe werkt Spinraza?

Patiënten met SMA hebben een tekort aan een eiwit met de naam 'survival motor neuron' (SMN-eiwit), dat essentieel is voor motorneuronen (zenuwcellen uit het ruggenmerg die spierbewegingen

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



aansturen) om te overleven en normaal te functioneren. Het SMN-eiwit is gemaakt van twee genen, SMN1 en SMN2. Bij patiënten met SMA ontbreekt het SMN1-gen, maar ze hebben het SMN2-gen, waardoor meestal een kort SMN-eiwit ontstaat dat niet zo goed werkt als een eiwit van volledige lengte.

Spinraza is een synthetische antisense oligonucleotide (een soort genetisch materiaal) dat het SMN2-gen in staat stelt om eiwit van volledige lengte te produceren, dat normaal kan werken. Dit vervangt het ontbrekende eiwit, waardoor de symptomen van de ziekte worden verlicht.

Welke voordelen bleek Spinraza tijdens de studies te hebben?

Uit één hoofdstudie onder 121 baby's (met een gemiddelde leeftijd van 7 maanden) met SMA bleek dat Spinraza werkzaam is voor het verbeteren van de mobiliteit in vergelijking met een placebo (schijninjectie).

Na één jaar behandeling vertoonde 51% van de baby's die Spinraza kregen (37 van de 73) vooruitgang bij het ontwikkelen van hoofdbewegingen, rollen, zitten, kruipen, staan en lopen, terwijl bij geen van de baby's die placebo kregen vergelijkbare vooruitgang werd waargenomen. Daarnaast leefden de meeste met Spinraza behandelde baby's langer en hadden ze later ademhalingsondersteuning nodig dan de baby's die placebo kregen.

In een ander onderzoek werd de werkzaamheid van Spinraza beoordeeld bij kinderen van wie de SMA minder ernstig was en in een later stadium (op een gemiddelde leeftijd van 3 jaar) was vastgesteld. Na 15 maanden behandeling liet 57% van de kinderen die Spinraza kregen een verbetering van de mobiliteit zien, vergeleken met 26% van de kinderen die placebo kregen.

Studies die met Spinraza zijn uitgevoerd, worden nader beschreven in de beoordelingsverslagen over het geneesmiddel.

Wat zijn de bijwerkingen van en de beperkende voorwaarden voor Spinraza?

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle gerapporteerde bijwerkingen en beperkende voorwaarden voor Spinraza.

De meest voorkomende bijwerkingen van Spinraza (die bij meer dan 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn hoofdpijn, rugpijn en braken. Van deze bijwerkingen wordt aangenomen dat ze worden veroorzaakt door de injecties in het ruggenmerg die worden gebruikt om het geneesmiddel toe te dienen. Bij baby's konden niet alle bijwerkingen worden beoordeeld, aangezien de baby's zich hierover niet konden uiten.

Waarom is Spinraza geregistreerd in de EU?

In zijn beoordeling erkende het Europees Geneesmiddelenbureau de ernst van de aandoening en de dringende behoefte aan effectieve behandelingen.

Er is aangetoond dat Spinraza leidt tot klinisch relevante verbeteringen bij jonge kinderen met ziekte van verschillende ernst. Hoewel het geneesmiddel niet is getest bij patiënten met de ernstigste en lichtste vormen van SMA, wordt verwacht dat het bij deze patiënten vergelijkbare voordelen zal opleveren.

De bijwerkingen werden als beheersbaar beschouwd, waarbij de meeste bijwerkingen verband hielden met de manier waarop het geneesmiddel wordt toegediend.

Het Europees Geneesmiddelenbureau kwam daarom tot de conclusie dat de voordelen van Spinraza groter zijn dan de risico's en heeft geadviseerd het middel voor gebruik in de EU goed te keuren.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Spinraza te waarborgen?

Het bedrijf dat Spinraza in de handel brengt, zal de resultaten van een lopende studie naar de veiligheid en werkzaamheid van het geneesmiddel op lange termijn bij patiënten die nog geen symptomen van SMA vertonen, voltooiën en indienen.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Spinraza, zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Spinraza continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Spinraza worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Spinraza

Op 30 mei 2017 is een in de hele EU geldige vergunning voor het in de handel brengen van Spinraza verleend.

Meer informatie over Spinraza, waaronder de bijsluiter en het beoordelingsrapport, is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/spinraza.

Neem voor informatie over de beschikbaarheid van dit geneesmiddel in uw land contact op met de [nationale bevoegde instantie](#).

Dit overzicht is voor het laatst bijgewerkt in 03-2026.