



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Spinraza (*nusinersen*)

Przegląd wiedzy na temat leku Spinraza i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE w przystępnym języku

Czym jest lek Spinraza i w jakim celu się go stosuje

Spinraza jest lekiem stosowanym w leczeniu rdzeniowego zaniku mięśni 5q (SMA, ang. *spinal muscular atrophy*), choroby genetycznej, która powoduje osłabienie i wyniszczenie mięśni, w tym mięśni płuc. Choroba jest związana z defektem w chromosomie 5q, a objawy zwykle pojawiają się wkrótce po urodzeniu.

Ze względu na to, że SMA jest chorobą rzadko występującą, w dniu 2 kwietnia 2012 r. lek Spinraza uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocemu można znaleźć na [stronie internetowej](#) EMA.

Substancją czynną zawartą w leku Spinraza jest nusinersen.

Jak stosować lek Spinraza

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien rozpoczynać i nadzorować lekarz mający doświadczenie w leczeniu SMA.

Lek jest dostępny w postaci roztworu do wstrzykiwań. Jest podawany we wstrzyknięciu dooponowym (w dolnej części pleców, bezpośrednio do kręgosłupa) przez lekarza lub pielęgniarkę z doświadczeniem w przeprowadzaniu takiej procedury. Przed podaniem leku Spinraza konieczne może być też zastosowanie u pacjenta sedacji (leku uspokajającego).

Lek Spinraza należy podać jak najszybciej po zdiagnozowaniu SMA. Leczenie należy kontynuować, dopóki pacjent odnosi z niego korzyści.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Spinraza znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Spinraza

Pacjenci z SMA nie mają białka SMN (białka przeżycia neuronów ruchowych), które jest niezbędne do prawidłowego przeżycia i funkcjonowania neuronów ruchowych (komórek nerwowych w rdzeniu

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



kręgowym, które kontrolują ruchy mięśni). Za wytwarzanie białka SMN odpowiadają dwa geny: *SMN1* i *SMN2*. Pacjenci z SMA, u których nie występuje gen *SMN1*, ale obecny jest gen *SMN2*, wytwarzają przede wszystkim krótkie białko SMN, które nie działa tak dobrze jak białko pełnej długości.

Lek Spinraza jest syntetycznym antysensownym oligonukleotydem (rodzajem materiału genetycznego) umożliwiającym genowi *SMN2* wytwarzanie białka pełnej długości, które jest w stanie prawidłowo funkcjonować. Zastępuje ono brakujące białko i w ten sposób łagodzi objawy choroby.

Korzyści ze stosowania leku Spinraza wykazane w badaniach

W jednym badaniu głównym z udziałem 121 niemowląt (w średnim wieku 7 miesięcy) z SMA wykazano, że lek Spinraza jest skuteczny w poprawie ruchu w porównaniu z placebo (wstrzyknięciem pozorowanym).

Po roku leczenia 51 % niemowląt otrzymujących lek Spinraza (37 z 73) osiągnęło postęp w zakresie trzymania głowy, przekręcania się, siadania, raczkowania, stania i chodzenia, podczas gdy u żadnego z dzieci otrzymujących placebo nie zaobserwowano podobnego postępu. Ponadto większość niemowląt otrzymujących lek Spinraza przeżyła dłużej i potrzebowała wsparcia oddechowego później niż dzieci otrzymujące placebo.

W innym badaniu oceniano skuteczność leku Spinraza u dzieci, u których SMA miała mniej ciężką postać i została zdiagnozowana w późniejszym okresie (średni wiek 3 lata). Po 15 miesiącach leczenia u 57% dzieci otrzymujących lek Spinraza nastąpiła poprawa w poruszaniu się w porównaniu z 26% dzieci otrzymujących placebo.

Badania dotyczące leku Spinraza opisano bardziej szczegółowo w sprawozdaniach oceniających lek.

Jakie są działania niepożądane i ograniczenia związane ze stosowaniem leku Spinraza

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Spinraza znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Spinraza (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: ból głowy, ból pleców i wymioty. Uważa się, że te działania niepożądane są spowodowane wstrzyknięciami do kręgosłupa stosowanymi do podania leku. U niemowląt nie można było ocenić niektórych działań niepożądanych, ponieważ nie mogły one zostać zakomunikowane.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Spinraza w UE

W swojej ocenie Europejska Agencja Leków uwzględniła poważny charakter choroby i pilną potrzebę udostępnienia skutecznego leczenia.

Wykazano, że lek Spinraza daje istotną klinicznie poprawę u małych dzieci z chorobą o różnym nasileniu. Chociaż lek nie był testowany u pacjentów z najcięższą i najłagodniejszą postacią SMA, oczekuje się, że przyniesie on podobne korzyści tym pacjentom.

Działania niepożądane uznano za możliwe do opanowania, przy czym większość z nich była związana ze sposobem podawania leku.

Agencja uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Spinraza przewyższają ryzyko, i zaleciła dopuszczenie leku do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Spinraza

Firma, która wprowadza lek Spinraza do obrotu, uzupełni i przedstawi wyniki trwającego badania dotyczącego długoterminowego bezpieczeństwa stosowania i skuteczności leku u pacjentów, którzy nie mają jeszcze objawów SMA.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Spinraza w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Spinraza są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Spinraza są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Spinraza

W dniu 30 maja 2017 r. lek Spinraza otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu ważne w całej Unii Europejskiej.

Dalsze informacje dotyczące leku Spinraza, w tym ulotka dołączona do opakowania i sprawozdanie oceniające, znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/spinraza.

W celu uzyskania informacji na temat dostępności tego leku w danym kraju należy skontaktować się z [właściwym organem krajowym](#).

Data ostatniej aktualizacji: 03.2026.