



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Spinraza (*nusinersen*)

Um resumo em linguagem simples sobre Spinraza e por que está autorizado na UE

O que é Spinraza e para que é utilizado?

Spinraza é um medicamento utilizado no tratamento da atrofia muscular espinhal (*spinal muscular atrophy* - SMA) 5q, uma doença genética que causa fraqueza e atrofia dos músculos, incluindo dos músculos pulmonares. A doença está ligada a uma deficiência no cromossoma 5q e os sintomas surgem, em geral, pouco depois do nascimento.

A SMA é uma doença rara e Spinraza foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 2 de abril de 2012. Mais informações sobre a designação de medicamento órfão podem ser encontradas no [sítio Web da EMA](#).

Spinraza contém a substância ativa nusinersen.

Como se utiliza Spinraza?

Spinraza só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser iniciado por um médico com experiência no tratamento da SMA.

O medicamento está disponível na forma de solução injetável. É administrado por injeção intratecal (na parte inferior das costas, diretamente na coluna vertebral) por um médico ou enfermeiro com experiência na realização deste procedimento. Pode ser necessária a sedação do doente (a administração de um medicamento calmante) antes da administração de Spinraza.

Spinraza deve ser administrado o mais rapidamente possível após o doente ter sido diagnosticado com SMA. O tratamento deve ser continuado enquanto se mantiver o benefício para o doente.

Para mais informações sobre a utilização de Spinraza, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Como funciona Spinraza?

Os doentes com SMA têm falta de uma proteína denominada proteína de sobrevivência do neurónio motor (*survival motor neuron* - SMN), essencial para que os neurónios motores (células nervosas da

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



medula espinhal que controlam os movimentos musculares) sobrevivam e funcionem normalmente. A proteína SMN é produzida por dois genes, o SMN1 e o SMN2. Os doentes com SMA não possuem o gene SMN1, mas possuem o gene SMN2, que produz principalmente uma proteína SMN curta que não funciona tão bem como a proteína de comprimento completo.

Spinraza é um oligonucleotídeo *antisense* sintético (um tipo de material genético) que permite que o gene SMN2 produza a proteína de comprimento completo, a qual pode funcionar normalmente. Esta substitui a proteína em falta, aliviando, desta forma, os sintomas da doença.

Quais os benefícios demonstrados por Spinraza durante os estudos?

Um estudo principal que incluiu 121 bebés (com uma idade média de 7 meses) com SMA demonstrou que Spinraza é eficaz na melhoria do movimento, em comparação com o placebo (uma injeção simulada).

Após um ano de tratamento, 51 % dos bebés que receberam Spinraza (37 em 73) apresentaram progressos no desenvolvimento do controlo da cabeça, rebolar, sentar, gatinhar, pôr-se de pé ou andar, enquanto não se observaram progressos semelhantes em nenhum dos bebés que receberam placebo. Além disso, a maioria dos bebés tratados com Spinraza sobreviveu durante mais tempo e necessitou de suporte respiratório mais tarde do que os bebés que receberam placebo.

Outro estudo avaliou a eficácia de Spinraza em crianças com SMA menos grave e diagnosticada numa fase posterior (idade média de 3 anos). Após 15 meses de tratamento, 57 % das crianças que receberam Spinraza apresentaram melhorias no movimento, em comparação com 26 % das crianças que receberam o placebo.

Os estudos realizados com Spinraza são descritos de forma mais pormenorizada nos relatórios de avaliação do medicamento.

Quais são os efeitos secundários e as restrições de utilização de Spinraza?

Para a lista completa de efeitos secundários e de restrições de utilização de Spinraza, consulte o Folheto Informativo.

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Spinraza (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) incluem dores de cabeça, dores nas costas e vômitos. Pensa-se que estes efeitos secundários sejam causados pelas injeções na coluna vertebral utilizadas para administrar o medicamento. Nos bebés, alguns dos efeitos secundários não puderam ser avaliados, uma vez que não podiam comunicá-los.

Por que está Spinraza autorizado na UE?

Na sua avaliação, a Agência Europeia de Medicamentos reconheceu a natureza grave da doença e a necessidade urgente de tratamentos eficazes.

Spinraza demonstrou produzir melhorias clinicamente significativas em crianças jovens com diversos graus de gravidade da doença. Apesar de o medicamento não ter sido testado em doentes com as formas mais grave e mais ligeira de SMA, espera-se que venha a proporcionar benefícios semelhantes a estes doentes.

Os efeitos secundários foram considerados controláveis, estando a maioria relacionada com o modo de administração.

Por conseguinte, a Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Spinraza são superiores aos seus riscos e que o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Spinraza?

A empresa que comercializa Spinraza irá concluir e apresentar os resultados de um estudo em curso sobre a segurança e a eficácia a longo prazo do medicamento em doentes que ainda não apresentam sintomas de SMA.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram igualmente incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Spinraza.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Spinraza são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Spinraza são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Spinraza

A 30 de maio de 2017, Spinraza recebeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a UE.

Estão disponíveis mais informações sobre Spinraza, incluindo o Folheto Informativo e o relatório de avaliação, no sítio Web da Agência: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/spinraza.

Para obter informações sobre a disponibilidade deste medicamento no seu país, contacte a sua [autoridade nacional competente](#).

Este resumo foi atualizado pela última vez em 03-2026.