



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Spinraza (*nusinersen*)

Prezentare generală în limbaj simplu a Spinraza și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Spinraza și pentru ce se utilizează?

Spinraza este un medicament utilizat pentru tratarea atrofiei musculare spinale 5q (AMS), o boală genetică ce cauzează slăbirea și atrofierea mușchilor, inclusiv a mușchilor pulmonari. Boala este asociată cu un defect al cromozomului 5q, iar simptomele apar de obicei la scurt timp după naștere.

AMS este rară, iar Spinraza a fost desemnat „medicament orfan” (medicament utilizat în boli rare) la 2 aprilie 2012. Mai multe informații despre medicamentele desemnate orfane se pot găsi pe [site-ul EMA](https://www.ema.europa.eu).

Spinraza conține substanța activă nusinersen.

Cum se utilizează Spinraza?

Spinraza se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie inițiat de un medic cu experiență în tratarea AMS.

Medicamentul este disponibil sub formă de soluție injectabilă. Se administrează prin injecție intratecală (în partea de jos a spatelui, direct în coloana vertebrală), de către un medic sau o asistentă medicală cu experiență în efectuarea acestei proceduri. Înainte de a se administra Spinraza, poate fi necesară sedarea pacientului (administrarea unui medicament pentru calmare).

Spinraza trebuie administrat cât mai curând posibil după ce pacientul a fost diagnosticat cu AMS. Tratamentul trebuie continuat cât timp are beneficii terapeutice pentru pacient.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Spinraza, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Spinraza?

La pacienții cu AMS lipsește o proteină numită proteina pentru „supraviețuirea neuronului motor” (SMN - survival motor neuron), care este esențială pentru supraviețuirea și funcționarea normală a neuronilor motori (celule nervoase din măduva spinării, care controlează mișcările mușchilor). Proteina SMN este compusă din două gene, SMN1 și SMN2. Pacienții cu AMS au deficit de gena SMN1, dar

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



posedă gena SMN2, care produce în cea mare parte o proteină SMN scurtă, care nu acționează la fel de bine ca o proteină cu lungime completă.

Spinraza este o oligonucleotidă antisens sintetică (un tip de material genetic) care permite genei SMN2 să producă proteina cu lungime completă, capabilă să acționeze normal. Aceasta înlocuiește proteina lipsă, ameliorând astfel simptomele bolii.

Ce beneficii a prezentat Spinraza pe parcursul studiilor?

Un studiu principal, care a cuprins 121 de sugari (cu vârsta medie de 7 luni) cu AMS, a arătat că Spinraza este eficace în îmbunătățirea mobilității, în comparație cu placebo (injecție simulată).

După un an de tratament, 51 % din sugarii cărora li s-a administrat Spinraza (37 din 73) au făcut progrese în controlul mișcărilor capului, la rostogolit, stat în șezut, mers de-a bușilea, stat în picioare și mers, în schimb niciunul dintre sugarii care au primit placebo nu a înregistrat progrese asemănătoare. În plus, majoritatea sugarilor tratați cu Spinraza au supraviețuit mai mult timp și au avut nevoie de respirație asistată mai târziu decât cei care au primit placebo.

Un alt studiu a evaluat eficacitatea Spinraza la copii cu AMS în formă mai puțin gravă și diagnosticată într-o etapă ulterioară (vârsta medie 3 ani). După 15 luni de tratament, la 57 % din copiii cărora li s-a administrat Spinraza s-a constatat îmbunătățirea mobilității, față de 26 % din copiii care au primit placebo.

Studiile efectuate cu Spinraza sunt descrise mai detaliat în rapoartele de evaluare a medicamentului.

Care sunt reacțiile adverse și restricțiile asociate cu Spinraza?

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor raportate asociate cu Spinraza, citiți prospectul.

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Spinraza (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt dureri de cap, dureri de spate și vărsături. Se consideră că aceste reacții adverse sunt cauzate de injecțiile în coloana vertebrală utilizate pentru administrarea medicamentului. La sugari, unele reacții adverse nu au putut fi evaluate, deoarece aceștia nu puteau să se exprime.

De ce a fost autorizat Spinraza în UE?

În evaluarea sa, Agenția Europeană pentru Medicamente a recunoscut natura gravă a bolii și nevoia urgentă de tratamente eficace.

S-a demonstrat că Spinraza duce la îmbunătățiri semnificative din punct de vedere clinic la copiii mici cu diferite grade de severitate a bolii. Deși medicamentul nu a fost testat la pacienți cu AMS în forma cea mai gravă și cea mai ușoară, se preconizează că acești pacienți vor înregistra beneficii similare.

Reacțiile adverse sunt considerate gestionabile terapeutic, majoritatea lor fiind asociate cu modul de administrare al medicamentului.

Prin urmare, agenția a hotărât că beneficiile Spinraza sunt mai mari decât riscurile asociate și a recomandat aprobarea utilizării sale în UE.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Spinraza?

Compania care comercializează Spinraza va finaliza și va prezenta rezultatele unui studiu în curs privind siguranța și eficacitatea pe termen lung a medicamentului la pacienții care nu au încă simptome de AMS.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Spinraza, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Spinraza sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Spinraza sunt evaluate cu atenție și sunt luate toate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Spinraza

Spinraza a primit autorizație de punere pe piață, valabilă pe întreg teritoriul UE, la 30 mai 2017.

Mai multe informații despre Spinraza, inclusiv prospectul și raportul de evaluare, se pot găsi pe site-ul agenției: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/spinraza.

Pentru informații privind disponibilitatea acestui medicament în țara dumneavoastră, contactați [autoritate națională competentă](#)

Această prezentare generală a fost actualizată ultima dată în perioada 3-2026.