



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Spinraza (*nusinersen*)

Prehľad o lieku Spinraza v zrozumiteľnom jazyku a prečo bol liek v EÚ povolený

Čo je liek Spinraza a na čo sa používa?

Spinraza je liek, ktorý sa používa na liečbu 5q spinálnej svalovej atrofie (spinal muscular atrophy, SMA), genetického ochorenia, ktoré spôsobuje slabosť a úbytok svalov vrátane pľúcnych svalov. Toto ochorenie sa spája s defektom na chromozóme 5q, pričom príznaky sa obvyčajne začnú prejavovať krátko po narodení.

SMA je zriedkavé ochorenie, a preto bol liek Spinraza 2. apríla 2012 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia sa nachádzajú na [webovej stránke](#) agentúry EMA.

Liek Spinraza obsahuje liečivo nusinersen.

Ako sa liek Spinraza používa?

Výdaj lieku Spinraza je viazaný na lekársky predpis a liečbu má začať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou SMA.

Liek je dostupný vo forme injekčného roztoku. Liek sa podáva formou intratekálnej injekcie (do dolnej časti chrbta, priamo do miechy) lekár alebo zdravotná sestra, ktorí majú skúsenosti s vykonávaním tohto zákroku. Pred podaním lieku Spinraza možno bude potrebné vykonať u pacienta sedáciu (podať liek na upokojenie).

Liek Spinraza sa má podať čo najskôr po diagnostikovaní SMA u pacienta. Liečba má pokračovať dovtedy, kým je pre pacienta prínosom.

Viac informácií o používaní lieku Spinraza si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo sa obráťte na svojho lekára alebo lekárnika.

Akým spôsobom liek Spinraza účinkuje?

Pacienti s SMA majú nedostatok proteínu nazývaného SMN (survival motor neuron), ktorý je nevyhnutný na prežívanie a normálne fungovanie motorických neurónov (nervových buniek miechy,

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



ktoré ovládajú pohyb svalov). Proteín SMN sa skladá z dvoch génov – SMN1 a SMN2. Pacienti s SMA majú nedostatok génu SMN1, ale majú gén SMN2, ktorý väčšinou vytvára krátky proteín SMN, ktorý nefunguje tak dobre ako proteín plnej dĺžky.

Liek Spinraza je syntetický antisense oligonukleotid (druh genetického materiálu) umožňujúci génu SMN2 vytvárať proteín v plnej dĺžke, ktorý je schopný normálne fungovať. Tento proteín nahradí chýbajúci proteín, čím zmierni príznaky ochorenia.

Aké prínosy lieku Spinraza boli preukázané v štúdiách?

Na základe jednej hlavnej štúdie, do ktorej bolo zapojených 121 dojčiat s SMA (priemerne vo veku 7 mesiacov), sa preukázalo, že liek Spinraza je účinný pri zlepšovaní pohybu v porovnaní s placebo (zdanlivou injekciou).

Po jednom roku liečby sa u 51 % dojčiat, ktoré dostávali liek Spinraza (37 zo 73), preukázal pokrok v držaní hlavy, prevaľovaní sa, sedení, lezení, stojí alebo chôdzi, kým u detí, ktoré dostávali placebo, sa žiadny podobný progres nepozoroval. Väčšina detí dojčiat liečených liekom Spinraza navyše žila dlhšie a potrebovala podporu dýchania neskôr ako deti, ktoré dostávali placebo.

V ďalšej štúdii sa hodnotila účinnosť lieku Spinraza u dojčiat s menej závažnou SMA, ktorá bola diagnostikovaná v neskoršej fáze (priemerne vo veku 3 roky). Po 15 mesiacoch liečby sa u 57 % detí dostávajúcich liek Spinraza preukázalo zlepšenie pri pohybe v porovnaní s 26 % detí, ktoré dostávali placebo.

Štúdie uskutočnené s liekom Spinraza sú podrobnejšie opísané v hodnotiacich správach o lieku.

Aké sú vedľajšie účinky a obmedzenia spojené s používaním lieku Spinraza?

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Spinraza a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Spinraza (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) sú bolesť hlavy, bolesť chrbta a vracanie. Predpokladá sa, že tieto vedľajšie účinky boli spôsobené injekciami, pri ktorých sa podával liek do miechy. U dojčiat nie je možné niektoré vedľajšie účinky posúdiť, keďže ich nedokážu oznamovať.

Prečo bol liek Spinraza povolený v EÚ?

Európska agentúra pre lieky vo svojom hodnotení uznala závažný charakter ochorenia a bezodkladnú potrebu účinnej liečby.

Preukázalo sa, že liek Spinraza vedie ku klinicky významným zlepšeniam u malých detí s rôznymi stupňami závažnosti ochorenia. Hoci liek nebol skúšaný u pacientov s najzávažnejšou a najmiernejšou formou SMA, očakáva sa, že pre týchto pacientov bude rovnakým prínosom.

Vedľajšie účinky sa považovali za zvládnuteľné, pričom väčšina vedľajších účinkov súvisí so spôsobom podania lieku.

Agentúra preto rozhodla, že prínosy lieku Spinraza sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním, a preto odporučila udeliť povolenie na jeho používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Spinraza?

Spoločnosť, ktorá liek Spinraza uvádza na trh, dokončí prebiehajúcu štúdiu o dlhodobej bezpečnosti a účinnosti lieku u pacientov, u ktorých sa ešte neprejavili príznaky SMA, a predloží výsledky tejto štúdie.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Spinraza boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Spinraza sa neustále monitorujú. Podozrenia na vedľajšie účinky hlásené pri lieku Spinraza sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Spinraza

Lieku Spinraza bolo dňa 30. mája 2017 udelené povolenie na uvedenie na trh platné v celej EÚ.

Ďalšie informácie o lieku Spinraza vrátane písomnej informácie pre používateľa a hodnotiacej správy sa nachádzajú na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/spinraza.

Ak potrebujete informácie o dostupnosti tohto lieku vo svojej krajine, obráťte sa na svoj [príslušný vnútroštátny orgán](#).

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 03-2026