



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/736370/2017  
EMA/H/C/004312

## Súhrn správy EPAR pre verejnosť

---

# Spinraza

nusinersen

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Spinraza. Vysvetľuje, akým spôsobom agentúra vyhodnotila liek s cieľom odporučiť jeho povolenie na uvedenie na trh v EÚ a podmienky jeho používania. Účelom tohto dokumentu nie je poskytnúť praktické rady o tom, ako používať liek Spinraza.

Ak pacienti potrebujú praktické informácie o používaní lieku Spinraza, nájdu ich v písomnej informácii pre používateľa alebo sa môžu obrátiť na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnik.

## 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 obyčajne začínajú prejavovať krátko po narodení.

Keďže je počet pacientov so SMA nízky, ochorenie sa považuje za zriedkavé, a preto bol liek Spinraza 2. apríla 2012 označený za liek na ojedinelé ochorenia.

Liek Spinraza obsahuje účinnú látku nusinersen.

## Ako sa liek Spinraza používa?

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

Liek je dostupný vo forme injekčného roztoku v liekovkách s objemom 12 mg. Vo forme intratekálnej injekcie (do dolnej časti chrbta, priamo do miechy) ho podáva lekár alebo zdravotná sestra so skúsenosťami s vykonávaním tohto zákroku. Pred podaním lieku Spinraza možno bude potrebné vykonať u pacienta sedáciu (podať liek na ukladnutie).

---

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom  
**Telephone** +44 (0)20 3660 6000 **Facsimile** +44 (0)20 3660 5555  
**Send a question via our website** [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact)

An agency of the European Union



Odporúčaná dávka je 12 mg (jedna liekovka), ktorá sa podá čo najskôr po diagnostikovaní SMA u pacienta. Po prvej dávke majú nasledovať ďalšie 3 dávky po 2, 4 a 9 týždňoch a následne jedna dávka každé 4 mesiace. Liečba má pokračovať dovtedy, kým je pre pacienta prínosom. Viac informácií sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

## **Ako liek Spinraza účinkuje?**

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

## **Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Spinraza?**

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.

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

## **Prečo bol liek Spinraza povolený?**

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 uvádza liek Spinraza na trh, dokončí prebiehajúce štúdie o dlhodobej bezpečnosti a účinnosti lieku u pacientov, ktorí vykazujú príznaky SMA, a u pacientov, ktorí doposiaľ nevykazujú príznaky.

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.

## **Ďalšie informácie o lieku Spinraza**

Dňa 30. mája 2017 Európska komisia vydala povolenie na uvedenie lieku Spinraza na trh platné v celej Európskej únii.

Úplné znenie správy EPAR o lieku Spinraza je uvedené na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Ak potrebujete ďalšie informácie o liečbe liekom Spinraza, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľa (súčasť správy EPAR) alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnika.

Súhrn stanoviska Výboru pre lieky na ojedinelé ochorenia k lieku Spinraza je uvedený na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 11-2017