



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Spinraza (*nusinersen*)

Povzetek informacij o zdravilu Spinraza v preprostem jeziku in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Spinraza in za kaj se uporablja?

Spinraza je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje 5q spinalne mišične atrofije (SMA), genetske bolezni, ki povzroča šibkost in atrofijo mišic, tudi dihalnih. Bolezen je povezana z okvaro na kromosomu 5q, simptomi pa se običajno pojavijo kmalu po rojstvu.

Spinalna mišična atrofija (SMA) je redka bolezen, zato je bilo zdravilo Spinraza 2. aprila 2012 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Več informacij o zdravilih sirotah je na voljo na [spletni strani](#) agencije EMA.

Zdravilo Spinraza vsebuje učinkovino nusinersen.

Kako se zdravilo Spinraza uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Spinraza je le na recept, zdravljenje pa mora nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem spinalne mišične atrofije.

Na voljo je v obliki raztopine za injiciranje. Z intratekalno injekcijo (v spodnji del hrbta, neposredno v hrbtenico) ga daje zdravnik ali medicinska sestra, ki ima izkušnje z izvajanjem tega posega. Pred dajanjem zdravila Spinraza bo bolniku morda treba dati pomirjevalo.

Zdravilo Spinraza je treba dati čim prej po tem, ko je bila pri bolniku diagnosticirana spinalna mišična atrofija. Zdravljenje z zdravilom Spinraza se nadaljuje tako dolgo, dokler je za bolnika koristno.

Za več informacij glede uporabe zdravila Spinraza glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Spinraza deluje?

Bolnikom s spinalno mišično atrofijo primanjkuje beljakovine, imenovane „beljakovina preživetja motoričnega nevrona“ (SMN), ki je nujna za preživetje in normalno delovanje motoričnih nevronov (živčnih celic v hrbtenjači, ki nadzorujejo gibe mišic). Beljakovino SMN sestavljata dva gena, SMN1 in

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



SMN2. Bolnikom s spinalno mišično atrofijo primanjkuje gena SMN1, gen SMN2 pa imajo, zato se tvori predvsem kratka beljakovina SMN, ki ne deluje enako dobro kot beljakovina s celotno dolžino.

Zdravilo Spinraza je sintetični protismiselni oligonukleotid (vrsta genetskega materiala), ki genu SMN2 omogoči tvorbo beljakovine s celotno dolžino in normalnim delovanjem. S tem nadomesti manjkajočo beljakovino in olajša simptome bolezni.

Kakšne koristi zdravila Spinraza so se pokazale v študijah?

Ena glavna študija, v katero je bilo vključenih 121 dojenčkov (povprečne starosti 7 mesecev) s spinalno mišično atrofijo, je pokazala, da zdravilo Spinraza v primerjavi s placebom (injekcijo brez zdravilne učinkovine) učinkovito izboljša gibanje.

Po enem letu zdravljenja, se je pri 51 % (37 od 73) dojenčkov, ki so prejeli zdravilo Spinraza pokazalo napredovanje pri razvoju obvladovanja glave, kotaljenja, sedenja, plazenja, stoječega položaja in hoje, pri dojenčkih, ki so prejeli placebo, pa podobno napredovanje ni bilo ugotovljeno v nobenem primeru. Poleg tega so dojenčki, ki so bili zdravljeni z zdravilom Spinraza, večinoma preživeli dlje kot tisti, ki so prejeli placebo, in so podpora dihanju potrebovali pozneje.

V drugi študiji so ocenili učinkovitost zdravila Spinraza pri otrocih, pri katerih je spinalna mišična atrofija manj huda in je bila diagnoza postavljena pozneje (pri povprečni starosti treh let). Po 15 mesecih zdravljenja, je bilo pri 57 % otrok, ki so prejeli zdravilo Spinraza, ugotovljeno izboljšanje gibanja, medtem ko je bilo med otroci, ki so prejeli placebo, takšnih otrok 26 %.

Študije, izvedene z zdravilom Spinraza, so podrobneje opisane v poročilih o oceni zdravila.

Kakšni so neželeni učinki in omejitve pri uporabi zdravila Spinraza?

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Spinraza glejte navodilo za uporabo.

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Spinraza (ki lahko prizadenejo več kot 1 od 10 oseb) so glavobol, bolečine v hrbtu in bruhanje. Te neželene učinke naj bi povzročale injekcije v hrbtenico, s katerimi se zdravilo daje. Pri dojenčkih določenih neželenih učinkov ni bilo mogoče oceniti zaradi njihove nezmožnosti sporočanja.

Zakaj je bilo zdravilo Spinraza odobreno v EU?

Evropska agencija za zdravila je v svoji oceni prepoznala resnost bolezni in nujno potrebo po učinkovitem zdravljenju.

Zdravilo Spinraza je pri majhnih otrocih z različno stopnjo resnosti bolezni pokazalo klinično pomembna izboljšanja. Čeprav zdravilo pri bolnikih z najhujšo in najbolj blago obliko spinalne mišične atrofije ni bilo preskušeno, se pričakujejo podobne koristi zdravljenja tudi pri teh bolnikih.

Neželeni učinki veljajo za obvladljive in so večinoma povezani z načinom dajanja zdravila.

Agencija je zato zaključila, da so koristi zdravila Spinraza večje od z njim povezanih tveganj, in priporočila, da se odobri za uporabo v EU.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Spinraza?

Podjetje, ki trži zdravilo Spinraza, bo zaključilo in predložilo rezultate potekajoče študije o dolgoročni varnosti in učinkovitosti zdravila pri bolnikih, ki še ne kažejo simptomov spinalne mišične atrofije.

Priporočila in varnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Spinraza upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za njegovo uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Spinraza stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Spinraza, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Spinraza

Za zdravilo Spinraza je bilo 30. maja 2017 izdano dovoljenje za promet, veljavno po vsej EU.

Nadaljnje informacije o zdravilu Spinraza, vključno z navodilom za uporabo in poročilom o oceni, so na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/spinraza.

Za informacije o razpoložljivosti tega zdravila v svoji državi se obrnite na [pristojni nacionalni organ](#).

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 03-2026.