



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Spinraza (*nusinersen*)

Sammanfattning på klart och tydligt språk av Spinraza och varför det är godkänt inom EU

Vad är Spinraza och vad används det för?

Spinraza är ett läkemedel som används för att behandla spinal muskelatrofi av typ 5q (SMA), en genetisk sjukdom som leder till försvagade och förtvinade muskler, inräknat lungmuskulaturen. Sjukdomen är förknippad med en defekt på kromosom 5q och symtomen startar vanligtvis strax efter födelsen.

SMA är sällsynt och Spinraza klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 2 april 2012. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns på [EMA:s webbplats](#).

Spinraza innehåller den aktiva substansen nusinersen.

Hur används Spinraza?

Spinraza är receptbelagt och behandling ska inledas av en läkare med erfarenhet av att behandla SMA.

Läkemedlet finns som en injektionsvätska, lösning. Det ges genom intratekal injektion (i nedre delen av ryggen, direkt i ryggraden) av en läkare eller sjuksköterska med vana av att utföra detta förfarande. Patienterna kan behöva vara sederade (få ett läkemedel som lugnar dem) innan de får Spinraza.

Spinraza ska ges så snart som möjligt efter att patienten har diagnostiserats med SMA. Behandlingen ska fortsätta så länge patienten har nytta av den.

För mer information om hur du använder Spinraza, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Spinraza?

Patienter med SMA saknar överlevnadsmotorneuron-proteinet (SMN-protein, av "survival motor neuron"), som behövs för att motorneuroner (nervceller i ryggmärgen som styr musklernas rörelser) ska överleva och fungera normalt. SMN-proteinet produceras av två gener, SMN1 och SMN2. Patienter

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



med SMA saknar SMN1-genen men har SMN2-genen, som främst producerar ett kort SMN-protein som inte fungerar lika bra som ett fullängdsprotein.

Spinraza är en syntetisk antisens-oligonukleotid (ett slags genetiskt material) som gör att SMN2-genen kan producera fullängdsprotein som förmår fungera normalt. Detta ersätter det saknade proteinet, vilket gör att symtomen på sjukdomen lindras.

Vilka fördelar med Spinraza har visats i studierna?

En huvudstudie på 121 spädbarn (med en genomsnittlig ålder på 7 månader) med SMA visade att Spinraza är effektivt när det gäller att förbättra rörelseförmågan jämfört med placebo (overksam injektion).

Efter ett års behandling uppvisade 51 procent av spädbarnen som fick Spinraza (37 av 73) framsteg i fråga om huvudets rörelsekontroll, att rulla, sitta, krypa, stå och gå, medan ingen liknande utveckling sågs hos något av spädbarnen som fick placebo. De flesta spädbarn som behandlades med Spinraza överlevde dessutom längre och behövde andningshjälp senare än de som fick placebo.

En annan studie bedömde Spinrazas effekt hos barn vars SMA var mindre allvarlig och som fått diagnosen i ett senare skede (i genomsnitt i 3-årsåldern). Efter 15 månaders behandling uppvisade 57 procent av barnen som fick Spinraza förbättrad rörelseförmåga, jämfört med 26 procent av barnen som fick placebo.

De studier som utförts för att utvärdera Spinraza beskrivs närmare i läkemedlets utredningsrapporter.

Vilka är biverkningarna och restriktionerna för Spinraza?

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Spinraza finns i bipacksedeln.

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Spinraza (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är huvudvärk, ryggsmärta och kräkningar. Man tror att dessa biverkningar orsakas av injektionerna i ryggraden som krävs för att ge läkemedlet. Hos spädbarn kunde vissa biverkningar inte bedömas, eftersom de inte kunde förmedla dem.

Varför är Spinraza godkänt i EU?

I sin bedömning slog Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fast att sjukdomen är mycket allvarlig och att effektiva behandlingar omedelbart måste sättas in.

Spinraza har visat sig leda till kliniskt betydelsefulla förbättringar hos småbarn med SMA i olika svårighetsgrader. Även om läkemedlet inte testades på patienter med de allvarligaste och lindrigaste formerna av SMA, förväntas det vara av liknande nytta för dessa patienter.

Biverkningarna ansågs hanterbara och de flesta av dem är förknippade med hur läkemedlet ges.

EMA fann därför att fördelarna med Spinraza är större än riskerna och rekommenderade att Spinraza skulle godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Spinraza?

Företaget som marknadsför Spinraza kommer att slutföra och lämna in resultaten av en pågående studie om läkemedlets långsiktiga säkerhet och effekt hos patienter som ännu inte uppvisar symtom på SMA.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Spinraza har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Spinraza kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Spinraza utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Spinraza

Den 30 maj 2017 beviljades Spinraza ett godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

Mer information om Spinraza, inklusive bipacksedeln och utredningsprotokollet, finns på EMA:s webbplats: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/spinraza.

För information om tillgången till detta läkemedel i ditt land, kontakta din [nationella behöriga myndighet](#).

Denna sammanfattning uppdaterades senast 03-2026.