

Informazione destinata ai pazienti

Legga attentamente il foglietto illustrativo prima della somministrazione di Spinraza a lei o a sua/o figlia/o. Questo medicamento viene dispensato solo nei centri ospedalieri specializzati in malattie neuromuscolari. Conservi il foglietto illustrativo per poterlo rileggere all'occorrenza.

Spinraza™

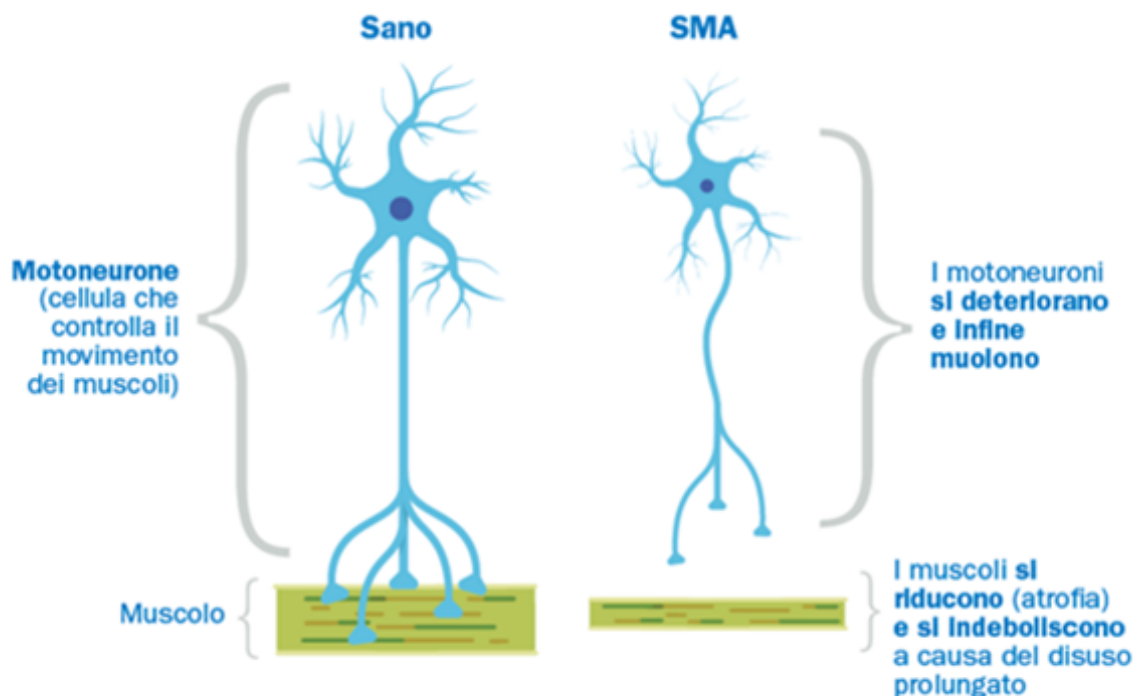
Biogen Switzerland AG

Che cos'è Spinraza e quando si usa?

Spinraza viene utilizzato su prescrizione medica per il trattamento di una malattia genetica chiamata atrofia muscolare spinale (SMA). Spinraza contiene il principio attivo nusinersen, che appartiene a un gruppo di medicinali chiamati oligonucleotidi antisenso.

Cos'è l'atrofia muscolare spinale?

L'atrofia muscolare spinale è causata dalla carenza nell'organismo di una proteina chiamata Survival Motor Neuron, abbreviata SMN. Ciò porta alla perdita di cellule nervose nella colonna vertebrale che comporta una debolezza muscolare a spalle, anche, cosce e a livello della parte superiore della schiena. Possono essere indeboliti anche i muscoli responsabili della respirazione e della deglutizione.



Come agisce Spinraza?

Spinraza agisce sostenendo l'organismo a produrre più proteina SMN. In questo modo viene ridotta la perdita di cellule nervose e si può quindi migliorare la forza muscolare.



SPINRAZA® INCREMENTA LA PRODUZIONE DI PROTEINA SMN DA PARTE DEL GENE SMN2

SMA NON TRATTATA

La proteina SMN per la maggior parte è incompleta, non funzionale e si degrada rapidamente



SMA TRATTATA CON SPINRAZA®



SPINRAZA® si lega all'RNA messaggero prodotto da SMN2, incrementando la produzione di proteina SMN funzionale

In che modo è stato studiato nusinersen?

In studi clinici, nusinersen ha aiutato i bambini a migliorare le funzioni motorie e a raggiungere le tappe fondamentali dello sviluppo motorio (per esempio il controllo della testa, sedersi o stare in piedi senza aiuto; vedere la figura seguente).

Il trattamento con nusinersen è stato utile in pazienti di età diverse e affetti da differenti tipi di SMA, come la forma infantile di SMA (Tipo I), la SMA a insorgenza tardiva (Tipo II/III) e la SMA presintomatica, diagnosticata mediante test genetico.



Se la malattia ha superato un certo stadio (p. es. è diventata necessaria una ventilazione permanente), l'efficacia di Spinraza è nettamente ridotta rispetto a quando l'inizio della terapia avviene negli stadi precoci.

Di che cosa occorre inoltre tener conto durante il trattamento?

Spinraza contiene meno di 1 mmol (23 mg) di sodio per dose, perciò significa che è quasi «privo di sodio» e può essere utilizzato da pazienti che devono seguire una dieta povera di sodio. Spinraza contiene potassio, meno di 1 mmol (39 mg) potassio per dose, cioè essenzialmente 'senza potassio'.

Quando non si può usare Spinraza?

Spinraza non deve essere utilizzato



- se lei o sua/o figlia/o è allergica/o al nusinersen o a uno degli eccipienti.

Se lei è incerto, ne parli con il suo medico prima del trattamento con Spinraza.

Quando è richiesta prudenza nella somministrazione di Spinraza?

È presente il rischio che dopo la somministrazione di Spinraza con la puntura lombare si verifichino effetti collaterali che sono in relazione con la puntura lombare stessa. Questi possono comprendere cefalea, vomito e dolori lombari. In pazienti molto giovani e nei pazienti con scoliosi (curvatura della colonna vertebrale) si possono presentare difficoltà nella somministrazione di un medicamento attraverso la puntura lombare.

Si è dimostrato che altri medicinali che appartengono alla stessa classe di Spinraza hanno un effetto, nel sangue, sulle cellule responsabili della coagulazione. Prima che lei o sua/o figlia/o ricevi Spinraza, il suo medico effettuerà un esame del sangue per verificarne la capacità di coagulazione. Il suo medico ripeterà l'esame regolarmente durante il trattamento con Spinraza.

Si è dimostrato che altri medicinali che appartengono alla stessa classe di Spinraza hanno un effetto sui reni. Prima che lei o sua/o figlia/o ricevi Spinraza, il suo medico effettuerà un esame delle urine per verificare la funzione renale sua o di sua/o figlia/o. Questa procedura verrà ripetuta regolarmente durante il trattamento con Spinraza.

Prima che lei o sua/o figlia/o ricevi Spinraza, il suo medico effettuerà un elettrocardiogramma per determinare se lei o sua/o figlia/o soffre di aritmia cardiaca. Questa procedura verrà ripetuta regolarmente durante il trattamento con Spinraza.

Vi è stato un numero di segnalazioni di pazienti che, dopo la somministrazione di Spinraza, hanno sviluppato idrocefalo (accumulo di eccessivo liquido cerebrospinale nel cervello). In alcuni di questi pazienti, per trattare l'idrocefalo, è stato necessario l'impianto di un dispositivo chiamato derivazione ventricolo-peritoneale. Se nota su di lei o su sua/o figlia/o un aumento della circonferenza della testa, riduzione del livello di coscienza, nausea, vomito o mal di testa persistenti o altri sintomi che le destano preoccupazioni, non esiti a informare il suo medico o il medico del suo bambino per ricevere il trattamento necessario. Non si sa ancora nulla sui rischi e i benefici legati alla continuazione del trattamento con Spinraza dopo l'impianto di una derivazione ventricolo-peritoneale.

Informi il suo medico se lei o sua/o figlia/o

- soffre di altre malattie,
- soffre di allergie o
- assume altri medicinali (anche acquistati di sua iniziativa!) o li applica esternamente.

Effetti sulla guida di veicoli e sulla capacità di utilizzare macchinari

Finora non vi sono prove che Spinraza interferisca con la guida di veicoli e la capacità di utilizzare macchinari.

Il suo medico le spiegherà se lei, nonostante la sua malattia, può guidare veicoli o utilizzare macchinari.

Si può usare Spinraza durante la gravidanza o l'allattamento?

Se è incinta o se allatta, oppure se sospetta di essere incinta o intende rimanere incinta, prima di usare questo medicamento chiedi consiglio al suo medico. È preferibile evitare di utilizzare Spinraza durante la gravidanza e l'allattamento.

Come usare Spinraza?

La dose usuale di Spinraza è di 50 mg e 28 mg.

A lei o sua/o figlia/o Spinraza verrà iniettato nel modo seguente:

- una dose di Spinraza 50 mg il primo giorno di trattamento (giorno 0) e al giorno 14
- successivamente Spinraza 28 mg una volta ogni 4 mesi.

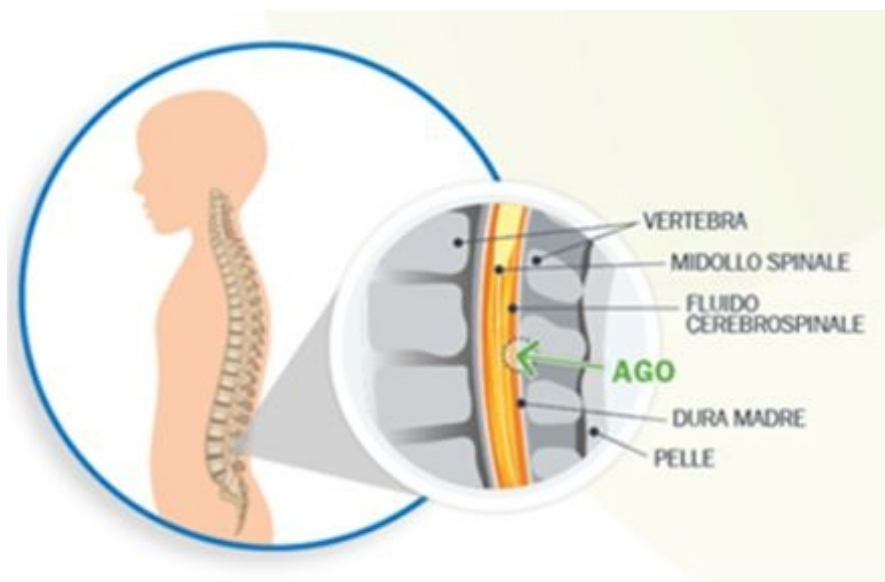
Spinraza può essere somministrato anche in una dose di 12 mg.



A lei o sua/o figlia/o Spinraza verrà iniettato nel modo seguente:

- il primo giorno di trattamento, giorno 0
- poi al giorno 14, al giorno 28 e al giorno 63
- successivamente una volta ogni 4 mesi.

Spinraza verrà somministrato a lei o sua/o figlia/o come iniezione nella parte inferiore della schiena. Questa iniezione è detta puntura lombare e consiste nell'inserire un ago nello spazio intorno al midollo spinale. Il trattamento viene effettuato da un medico con esperienza nell'esecuzione delle punture lombari. Lei o sua/o figlia/o eventualmente verrete trattati anche con un medicamento che consente il rilassamento o l'addormentamento durante la procedura.



Per quanto tempo viene utilizzato Spinraza?

Il suo medico le dirà per quanto tempo lei o sua/o figlia/o dovrete essere trattati con Spinraza. Non interrompa il trattamento con Spinraza fino a quando il suo medico non lo dice espressamente.

Si dispone di informazioni limitate circa un trattamento con Spinraza di durata superiore a 3 anni dopo l'inizio della terapia. Sono disponibili inoltre solo pochi dati su pazienti di età superiore ai 18 anni.

Se lei o sua/o figlia/o saltate una iniezione

Se lei o sua/o figlia/o saltate una dose di Spinraza, ne parli al suo medico in modo che possa essere effettuato prima possibile il trattamento con Spinraza.

Se ha delle domande sull'utilizzo di Spinraza, si rivolga al suo medico.

Quali effetti collaterali può avere Spinraza?

Come tutti i medicinali, anche Spinraza può avere effetti collaterali, che tuttavia non compaiono necessariamente in ogni paziente.

Si rivolga al suo medico se in lei o in sua/o figlia/o dovessero presentarsi effetti collaterali fastidiosi o che si protraggono per molto tempo.

Effetti della puntura lombare

Durante la somministrazione di Spinraza o immediatamente dopo, di norma entro 72 ore dalla somministrazione, possono subentrare effetti indesiderati riconducibili alla puntura lombare come mal di testa, mal di schiena o vomito.

I più frequenti effetti collaterali che si sono verificati nei pazienti trattati con Spinraza erano:

- febbre



- rinite
- tosse
- stitichezza

Molto comune (riguarda più di 1 persona su 10)

- tosse
- rinite
- dolori alla schiena
- mal di testa
- vomito
- dentizione
- Aspirazione polmonare (infezione dei polmoni causata dall'ingresso di cibo, saliva o succhi gastrici nei polmoni).

Comune (riguarda da 1 a 10 persone su 100)

- cistite
- raffreddore da fieno
- fuoriuscita di sangue dal naso;
- cadute
- otite
- diarrea
- flatulenza
- perdita di peso

Frequenza non nota (non può essere definita sulla base dei dati disponibili)

- grave infezione collegata alla puntura lombare (p. es. meningite)
- idrocefalo (accumulo di eccessivo liquido cerebrospinale nel cervello)
- meningite asettica (meningite, cioè un'inflammazione delle meningi, non causata da infezione)
- reazione di ipersensibilità (una reazione allergica o simil-allergica che può comprendere gonfiore, eruzione cutanea o prurito)
- Aracnoidite (inflammazione della membrana che circonda il midollo spinale. Può manifestarsi con segni quali dolore pungente o bruciore nella parte bassa della schiena o nelle gambe, formicolio, intorpidimento o debolezza nelle gambe).

Effetto sulla crescita

Spinraza potrebbe causare una riduzione della crescita, come è stato osservato in uno studio controllato con placebo con misurazione della statura. Non è noto se un effetto di Spinraza sulla crescita sia reversibile interrompendo la terapia.

Se tu o tua/o figlia/o osserva effetti collaterali, si rivolga al suo medico, soprattutto se si tratta di effetti collaterali non descritti in questo foglietto illustrativo.

Di che altro occorre tener conto?

-

Cosa contiene Spinraza?

Principi attivi



Spinraza 28 mg: Ogni flaconcino da 5 ml contiene una quantità di nusinersen (come nusinersen sodio) corrispondente a 28 mg di nusinersen. Un millilitro contiene 5,6 mg di nusinersen.

Spinraza 50 mg: Ogni flaconcino da 5 ml contiene una quantità di nusinersen (come nusinersen sodio) corrispondente a 50 mg di nusinersen. Un millilitro contiene 10 mg di nusinersen.

Spinraza 12 mg: Ogni flaconcino da 5 ml contiene una quantità di nusinersen (come nusinersen sodio) corrispondente a 12 mg di nusinersen. Un millilitro contiene 2,4 mg di nusinersen.

Sostanze ausiliarie

Sodio diidrogeno fosfato diidrato (E339), idrogeno fosfato bisodico (E339), cloruro di sodio, cloruro di potassio (E508), cloruro di calcio biidrato (E509), cloruro di magnesio esaidrato (E511), idrossido di sodio (E524), acido cloridrico (E507), acqua per preparazioni iniettabili.

Numero dell'omologazione

66495 (Swissmedic).

Dove è ottenibile Spinraza? Quali confezioni sono disponibili?

Solo in centri ospedalieri specializzati in malattie neuromuscolari dietro prescrizione medica.

Titolare dell'omologazione

Biogen Switzerland AG, 6340 Baar.

Questo foglietto illustrativo è stato controllato l'ultima volta nel febbraio 2026 dall'autorità competente in materia di medicinali (Swissmedic).

