

## **Spinraza (nusinersenas): pranešimas apie nustatytą susisiekančiąją hidrocefaliją, nesusijusią su meningitu arba kraujavimu**

Gerb. Sveikatos priežiūros specialiste,

„Biogen“, suderinusi su Europos vaistų agentūra ir Valstybine vaistų kontrolės tarnyba prie Lietuvos Respublikos SAM, nori Jus informuoti:

### **Santrauka**

- **Spinraza gydomiems pacientams, įskaitant vaikus, nustatyta susisiekančioji hidrocefalija, nesusijusi su meningitu arba kraujavimu. Kai kurie iš jų buvo gydomi implantuojant ventrikuloperitoninį šuntą (VPŠ).**
- **Prieš pradėdant gydyti Spinraza, pacientus / jų globėjus reikia informuoti apie hidrocefalijos požymius ir simptomus, taip pat nurodyti kreiptis į gydytoją, jeigu pasireiškė: nepraeinantis vėmimas ar galvos skausmas, nepaaiškinamas sąmonės sutrikimas ir pernelyg padidėjusi galvos apimtis vaikams.**
- **Pacientus, kuriems pasireiškė šie hidrocefalijai būdingi požymiai ir simptomai, reikia toliau tirti.**
- **Pacientams, kuriems sutriko sąmonė, reikia atmesti padidėjo cerebrospinalinio skysčio (CSS) spaudimo ir infekcijos galimybę.**
- **Informacijos apie tolimesnį Spinraza veiksmingumą implantavus VPŠ nepakanka. Gydytojas turi atidžiai stebėti ir vertinti pacientus, kurie, implantavus VPŠ, toliau gydomi Spinraza.**
- **Pacientus / jų globėjus reikia informuoti, kad Spinraza vartojimo rizika ir nauda pacientams, kuriems implantuotas VPŠ, nežinoma.**

### **Saugumo duomenų pagrindimas**

Spinraza yra vaistas, skirtas 5q spinalinei raumenų atrofijai (SRA) gydyti. Po pradinio gydymo režimo, skiriant keturias įsotinamąsias dozes per 63 dienų laikotarpį, paskui vaistinis preparatas skiriamas kas keturis mėnesius. Spinraza leidžiamas į povoratinklinę ertmę, atliekant juosmeninę punkciją.

SRA sergantiems pacientams, įskaitant vaikus, gydomiems Spinraza, nustatyta susisiekančioji hidrocefalija, nesusijusi su meningitu arba kraujavimu.

Atsižvelgdami į galimas negydomos hidrocefalijos pasekmes, „Biogen“ įspėja SRA sergančius pacientus gydančius gydytojus (pvz., neurologus / neuropediatrus) apie galimą susisiekančiosios hidrocefalijos riziką, susijusią su gydymu Spinraza. Gydytojams rekomenduojama aptarti šią galimą riziką su pacientais / globėjais ir nurodyti jiems budriai stebėti, ar nepasireiškė hidrocefalijos požymių ir simptomų.

Reikia apsvarstyti galimybę įvertinti, ar nėra hidrocefalijos pacientams, kuriems pasireiškė hidrocefalijos požymių ir simptomų, įskaitant nepraeinantį vėmimą ar galvos skausmą, ar nepaaiškinamą sąmonės sutrikimą ir pernelyg padidėjusią galvos apimtį vaikams. Gydytojai turi atidžiai stebėti visus pacientus, kuriems pasireiškė hidrocefalijos požymių ar simptomų. Pacientus, kuriems diagnozuota hidrocefalija, reikia nedelsiant nukreipti pas gydytoją, turintį šios ligos gydymo patirties.

SRA sergantiems pacientams hidrocefalija buvo gydoma implantuojant ventrikuloperitoninį šuntą (VPŠ). Mažiausiai du vaikai, kuriems gydymo Spinraza metu nustatyta susisiekančioji hidrocefalija, buvo gydomi implantuojant VPŠ. Informacijos apie tolimesnį Spinraza veiksmingumą implantavus VPŠ nepakanka.

Gydytojams rekomenduojama atidžiai stebėti ir vertinti pacientus, kurie, implantavus VPŠ, toliau gydomi Spinraza. Pacientus / jų globėjus reikia informuoti, kad Spinraza vartojimo rizika ir nauda pacientams, kuriems implantuotas VPŠ, nežinoma.

Glausti penkių hidrocefalijos atvejų, nustatytų iki 2018 m. liepos 6 d., aprašymai:

4 mėnesių mergaitei, sergančiai I tipo SRA, kuriai buvo skirtos trys Spinraza dozės, padidėjo galvos apimtis ir pasireiškė letargija ir jai buvo diagnozuota susisiekiąčioji hidrocefalija. CSS mėginio rezultatai infekcijos požymių nerodė. Pacientei buvo implantuotas VPŠ. Pacientė toliau gydoma Spinraza.

6 mėnesių berniukui, sergančiam I tipo SRA, kuriam buvo skirtos keturios Spinraza dozės, atsirado padidėjusio intrakranijinio spaudimo su nistagmu ir įsitempusiu momenėliu požymių. Nustatyta susisiekiąčioji hidrocefalija su labai padidėjusiais vidinio CSS tarpais. Stuburo magnetinio rezonanso tyrimas tarpus apimančių pakitimų ar kraujavimo požymių neparodė. Buvo implantuotas VPŠ. Pacientas toliau gydomas Spinraza.

3 metų berniukui, sergančiam I tipo SRA, buvo skirtos dvi Spinraza dozės, kai smegenų MRT pagalba nustatyta susisiekiąčioji hidrocefalija. Hidrocefalijos gydymas neskirtas, tačiau pacientas stebimas neurochirurgijos klinikos specialistų. Gydymas Spinraza nutrauktas.

5 mėnesių berniukui, sergančiam I tipo SRA, kuriam buvo skirtos keturios Spinraza dozės, pasireiškė makrocefalija ir buvo diagnozuota susisiekiąčioji hidrocefalija. CSS mėginio rezultatai infekcijos požymių nerodė. Paciento gydymui įdėtas išorinis ventrikulinis šuntas (IVŠ), laukiama VPŠ. Pacientui planuojama tęsti gydymą Spinraza.

Suaugusiai SRA sergančiai ir Spinraza gydomai pacientei diagnozuota susisiekiąčioji hidrocefalija. Pranešta, kad pacientė taip pat serga skolioze.

Spinraza preparato charakteristikų santrauka (PCS) ir pakuotės lapelis bus atnaujinti, įtraukiant šį naują įspėjimą ir atsargumo priemones.

### ***Ragimas pranešti***

Sveikatos priežiūros specialistai turi pranešti apie bet kokias įtariamas nepageidaujamas reakcijas, užpildę interneto svetainėje <http://www.vvkt.lt/> esančią formą, ir pateikti ją Valstybinei vaistų kontrolės tarnybai prie Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministerijos vienu iš šių būdų: raštu (adresu Žirmūnų g. 139A, LT 09120 Vilnius), faksu (nemokamu fakso numeriu (8 800) 20 131), elektroniniu paštu (adresu [NepageidaujamaR@vvkt.lt](mailto:NepageidaujamaR@vvkt.lt)), per interneto svetainę (adresu <http://www.vvkt.lt/>).

Jei turite daugiau klausimų ar reikia papildomos informacijos, prašome kreiptis į Ewopharma AG atstovybę telefonu +370 52 14 02 60.

Pagarbiai

Registruotojo „Biogen Idec Ltd.“ vardu

Vaistų registracijos ir farmakologinio budrumo specialistė

Indrė Lukošūnienė

