

Dette forkortede produktresumé (SmPC) er baseret på det seneste godkendte SmPC. Fuldstændigt produktresumé kan rekvireres hos Biogen (Denmark) A/S, Stationsparken 37, 3. sal, 2600 Glostrup, telefon 77 41 57 57

SPINRAZA® nusinersen (forkortet produktresumé: afsnit markeret med* er omskrevet og/eller forkortede i forhold til det produktresumé EMA har godkendt). Sammensætning:

Injektionsvæske, opløsning Hvert 5 ml hætteglas indeholder nusinersennatrium svarende til 12 mg nusinersen. Spinraza er til intratekal anvendelse ved lumbalpunktur. **Indikation:** Spinraza er indiceret til behandling af 5q spinal muskelatrofi. **Dosering og administration*:** Behandling med Spinraza bør kun påbegyndes af en læge med erfaring i behandling af spinal muskelatrofi (SMA). Beslutningen om at behandle skal baseres på en individuel ekspertvurdering af de forventede fordele ved behandling for personen afvejet mod den potentielle risiko ved behandling med Spinraza. Patienter med svær hypotoni og respirationsinsufficiens ved fødslen, hvor Spinraza ikke er blevet undersøgt, oplever muligvis ingen klinisk signifikant fordel på grund af svær *survival motor neuron* (SMN)-proteinmangel. Behandlingen med Spinraza bør påbegyndes snarest muligt efter diagnosen med 4 støddoser på dag 0, 14, 28 og 63. Derefter indgives en vedligeholdelsesdosis hver 4. måned. For detaljerede oplysninger om administration af glømt eller forsinkede doser, se produktresuméet.

Kontraindikationer: Overfølsomhed over for det aktive stof eller et eller flere af hjælpestofferne. **Særlige advarsler og forsigtighedsregler vedrørende brugen*:** Der er en risiko for forekomst af bivirkninger i forbindelse med lumbalpunkturproceduren. Problemer ved denne administrationsvej kan ses hos meget unge patienter og patienter med skoliose. Anvendelse af ultralyd eller andre teknikker til billeddannelse til at guide intratekal administration af Spinraza kan overvejes efter lægens vurdering. Koagulationsanomaliteter og trombocytopeni, herunder akut svær trombocytopeni, er observeret efter administration af andre subkutant eller intravenøst administrerede antisense-oligonukleotider. Hvis det er klinisk indiceret, anbefales laboratorieanalyser af trombocytter og koagulation før administration af Spinraza. Nyretoksicitet er observeret efter administration af andre subkutant eller intravenøst administrerede antisense-oligonukleotider. Hvis det er klinisk indiceret, anbefales urinproteinanalyse (fortrinsvis ved anvendelse af en første morgenurinprøve). Ved vedvarende forhøjet urinprotein bør yderligere evaluering overvejes. Der har været rapporter om kommunikerende hydrocephalus, der ikke varer forbundet med meningitis eller blødning, hos patienter behandlet med nusinersen efter markedsføring. Nogle patienter fik implanteret en ventrikulo-peritoneal shunt. Det bør overvejes at foretage en udredning for hydrocephalus hos patienter med nedsat bevidsthedsniveau. Fordelene og risiciene ved behandling med nusinersen hos patienter med en ventrikulo-peritoneal shunt er på nuværende tidspunkt ukendte, og en opretholdelse af behandlingen bør overvejes nøje. Dette lægemiddel indeholder mindre end 1 mmol (23 mg) natrium og mindre end 1 mmol (39 mg) kalium pr. 5 ml hætteglas, dvs. det er i det væsentlige natrium- og kaliumfrit.

Graviditet og amning: Der er ingen eller utilstrækkelige data fra anvendelse af Spinraza til gravide kvinder. Dyreforsøg indikerer hverken direkte eller indirekte skadelige virkninger hvad angår reproduktionstoksicitet. For en sikkerheds skyld bør nusinersen undgås under graviditeten. Det er ukendt, om nusinersen/metabolitter udskilles i human mælk. En risiko for nyfødte/spædbørn kan ikke udelukkes. Det skal besluttes, om amning eller behandling med Spinraza skal ophøre, idet der tages højde for fordelene ved amning for barnet i forhold til de terapeutiske fordele for moderen. **Bivirkninger*:** Hyppighed er defineret på følgende måde: *Meget almindelig* ($\geq 1/10$), ikke kendt (kan ikke estimeres ud fra forhåndenværende data). Bivirkninger i forbindelse med lumbalpunkturproceduren er indberettet med en forekomst, der er mindst 5 % højere hos patienter behandlet med Spinraza *versus* sham-kontrol. *Meget almindelig:* hovedpine, opkastning, rygsmerter (hovedpine og opkastning betragtes som relateret til lumbalpunkturproceduren). *Ikke kendt:* meningitis, overfølsomhed (f.eks. angioødem, urticaria og udslæt), aseptisk meningitis. Der blev observeret hændelser med kommunikerende hydrocephalus efter markedsføring. Beskrivelse af udvalgte bivirkninger: Størstedelen af bivirkninger forbundet med administration af Spinraza via lumbalpunktur er indberettet inden for 72 timer efter proceduren. Forekomsten og sværhedsgraden af disse hændelser var i overensstemmelse med hændelser, der forventes at opstå med lumbalpunktur. Der er ikke observeret alvorlige komplikationer, såsom alvorlige infektioner fra lumbalpunkturen i de kliniske studier med Spinraza. Visse bivirkninger almindeligvis forbundet med lumbalpunktur (f.eks. hovedpine og rygsmerter) kunne ikke vurderes i spædbørnspopulationen på grund af den begrænsede mulighed for kommunikation med denne aldersgruppe. **Emballage:** 5 ml i et type I glas-hætteglas med en brombutyl-gummiprop og en overforsegling af aluminium og et plasticlåg. Pakningsstørrelse et hætteglas pr. karton.

Udlevering: BEGR (kun til sygehuse). **Pris:** Se dagsaktuelle priser på medicinpriser.dk

INDEHAVER AF MARKEDSFØRINGSTILLADELSEN: Biogen Netherlands B.V.

Prins Mauritslaan 13, 1171 LP Badhoevedorp, Holland
MARKEDSFØRINGSTILLADELSESNUMMER: EU/1/17/1188/001