

Spinraza 12 mg injektioneste, liuos Yksi 5 ml:n injektiopullo sisältää nusinerseeninatriumia määrän, joka vastaa 12 mg:aa nusinerseeniä. Yksi ml sisältää 2,4 mg nusinerseeniä. **Käyttöaiheet:** Spinraza on tarkoitettu kromosomiin 5q liittyvän spinaalisen lihasatrofian hoitoon. **Ehto:** Spinraza-hoidon saa aloittaa vain lääkäri, joka on perehtynyt spinaalisen lihasatrofian (spinal muscular atrophy, SMA) hoitoon. Hoitoa saavat antaa vain lannepiston tekemiseen perehtyneet terveydenhuollon ammattilaiset. **Annostus ja antotapa:** Suositeltu annos on 12 mg (5 ml) antokertaa kohden. Spinraza-hoito pitää aloittaa mahdollisimman pian diagnoosin jälkeen neljällä latausannoksella päivinä 0, 14, 28 ja 63. Tämän jälkeen annetaan ylläpitoannos 4 kuukauden välein. Hoidon jatkamisen tarve on tarkistettava säännöllisesti ja arvioitava yksilöllisesti potilaan kliinisen tilan ja hoitovasteen mukaan. Spinraza annetaan lannepistolla spinaalineulaa käyttämällä 1–3 minuutin kestoisena bolusinjektiona selkäydinnesteeseen. Nusinerseenin turvallisuutta ja tehoa munuaisten vajaatoimintaa sairastavien potilaiden hoidossa ei ole varmistettu. Munuaisten vajaatoimintaa sairastavia potilaita on seurattava huolellisesti hoidon aikana. Spinrazan käyttöä ei ole tutkittu potilailla, joilla on syntyessään vaikea hypotonia ja hengityksen vajaatoiminta, ja vaikean survival motor neuron (SMN) -proteiinin puutoksen vuoksi nämä potilaat eivät ehkä saa hoidosta kliinisesti merkittävää hyötyä. **Vasta-aiheet:** Yliherkkyys vaikuttavalle aineelle tai jollekin valmisteen apuaineelle. **Varoitukset ja käyttöön liittyvät varotoimet:** Lannepistotoimenpiteeseen liittyy haittavaikutusriski (esim. araknoidiitti, päänsärky, selkäkipu, oksentelu). Tähän antoreittiin saattaa liittyä vaikeuksia hyvin nuorilla potilailla ja skolioosipotilailla. Spinrazan intratekaalisen annon apuna voidaan käyttää lääkärin harkinnan mukaan ultraääntä tai muita kuvantamismenetelmiä. Jos araknoidiittia epäillään, araknoidiitti ja tulehduksen laajuus on varmistettava magneettikuvauksella. Jos araknoidiitti todetaan, kyseistä injektiokohtaa ei saa käyttää, ennen kuin paikallisen tulehduksen mahdollisuus on suljettu pois. Muiden antisense-oligonukleotidien ihon alle tai laskimoon tapahtuneen annon jälkeen on havaittu veren hyytymiseen liittyviä poikkeavuuksia ja trombosytopeniaa, mukaan lukien akuuttia vaikea-asteista trombosytopeniaa, sekä munuaistoksisuutta. Ennen Spinrazan antoa suositellaan kliinisen tarpeen mukaan laboratoriotutkimuksia veren trombosyyttipitoisuuden ja hyytymisen selvittämiseksi. Virtsan proteiinipitoisuus suositellaan tarkistamaan laboratoriotutkimuksen avulla kliinisen tarpeen mukaan. Jos virtsan proteiinipitoisuus on jatkuvasti koholla, on harkittava lisätutkimuksia. Ahtaumattoman hydrokefaluksen tapauksia, jotka eivät liittyneet meningiittiin tai verenvuotoon, on markkinoille tulon jälkeisessä käytössä raportoitu nusinerseenihoitoa saaneilla potilailla. Potilaille, joiden tajunnan taso on alentunut, on harkittava tutkimuksia hydrokefaluksen poissulkemiseksi. **Yhteisvaikutukset:** Yhteisvaikutustutkimuksia ei ole tehty. *In vitro* –tutkimukset osoittivat, että nusinerseeni ei indusoi eikä estä CYP450-välitteistä metaboliaa. *In vitro* –tutkimukset osoittivat olevan epätodennäköistä, että kilpailu plasman proteiineihin sitoutumisesta, kilpailu kuljettajaproteiinien kanssa tai kuljettajaproteiinien esto johtaisi yhteisvaikutuksiin nusinerseenin kanssa. **Raskaus ja imetys:** Varmuuden vuoksi nusinerseenin käyttöä on suositeltavaa välttää raskauden aikana. On päätettävä, lopetetaanko rintaruokinta vai lopetetaanko nusinerseenihoito ottaen huomioon rintaruokinnasta aiheutuvat hyödyt lapselle ja hoidosta koituvat hyödyt äidille. **Haittavaikutukset:** Hyvin yleiset: Päänsärky, oksentelu ja selkäkipu. Esiintymistiheysluokka tuntematon: Meningiitti, yliherkkyys, aseptinen meningiitti, araknoidiitti. Ahtaumattoman hydrokefaluksen tapauksia on havaittu. Muut tiedot haittavaikutuksista ks. valmisteyhteenvedo. **Säilytys:** Säilytä jääkaapissa (2 °C - 8 °C). Ei saa jäätyä. Herkkä valolle. Huoneenlämpösäilytys ks. valmisteyhteenvedo. **Pakkaukset ja hinnat:** Spinraza 12 mg (1 x 5 ml injektiopullo). Ajantasaiset hintatiedot KELAN lääkehakupalvelusta, https://www.kela.fi/laakkeet_laakehaku. **Korvattavuus:** Reseptilääke. Ei sv-korvattava. Tutustu valmisteyhteenvedoon ennen lääkkeen määräämistä. **Lisätietoja:** Terveystietokannat, Biogen Finland Oy, Bertel Jungin aukio 5 C 02600 Espoo, Puh. 020 7401 200, www.biogen.fi