



Dňa: 18. júla 2018

## **Spinraza (nusinersen): Komunikujúci hydrocefalus bez súvislosti s meningitídou alebo krvácaním**

Vážená pani doktorka, vážený pán doktor,

spoločnosť Biogen so súhlasom Európskej liekovej agentúry a Štátneho ústavu pre kontrolu liečiv si Vás dovoľuje informovať o nasledovnom:

### **Súhrn**

- **U pacientov vrátane detí, liečených Spinrazou bol hlásený komunikujúci hydrocefalus bez súvislosti s meningitídou alebo krvácaním. U niektorých sa stav riešil implantáciou ventrikulo-peritoneálneho shuntu (VPS).**
- **Pacienti/ošetrovatelia majú byť pred začatím liečby Spinrazou informovaní o prejavoch a príznakoch hydrocefalu a majú vyhľadať lekársku pomoc v prípade nasledujúcich prejavov: pretrvávajúce vracanie alebo bolesti hlavy, nevysvetliteľná zmena stavu vedomia a zväčšenie obvodu hlavy u detí.**
- **Pacientov s prejavmi a príznakmi prípadného hydrocefalu je potrebné podrobne vyšetriť.**
- **U pacientov so zmenou stavu vedomia je potrebné vylúčiť zvýšený tlak cerebrospinálneho moku (*cerebrospinal fluid, CSF*) a infekciu.**
- **O ďalšej účinnosti Spinrazy po implantácii VPS (ventrikulo-peritoneálneho shuntu) sú len obmedzené údaje. Lekári by mali pacientov, ktorí dostávajú Spinrazu, po zavedení VPS starostlivo vyšetriť a sledovať.**
- **Pacientov/ošetrovateľov je potrebné informovať, že riziká a prínosy liečby Spinrazou po zavedení VPS nie sú známe.**

### **Základné informácie o bezpečnostných rizikách**

Spinraza je liek indikovaný na liečbu 5q spinálnej svalovej atrofie (*spinal muscular atrophy, SMA*). Po začiatočnom režime štyrmi nasycovacími dávkami v priebehu 63 dní sa liek podáva každé štyri mesiace. Spinraza sa podáva intratekálne lumbálnou punkciou.

U pacientov vrátane detí s SMA liečených Spinrazou bol hlásený komunikujúci hydrocefalus bez súvislosti s meningitídou alebo krvácaním.

Biogen Slovakia s.r.o., Einsteinova 24, 851 01 Bratislava, Slovakia

IČO: 36 363 146, IČO pre DPH: SK 2022192029, Obch.Reg.Okr. súdu Bratislava I., Odd: Sro, VI.č. 4075/B.

Vzhľadom na možné následky neliečeného hydrocefalu spoločnosť Biogen upozorňuje lekárov, ktorí sa podieľajú na starostlivosti o pacientov s SMA (neurologovia pre dospelých a/alebo pediatrických pacientov) na potenciálne riziko komunikujúceho hydrocefalu v súvislosti s liečbou Spinrazou. Lekári musia toto potenciálne riziko prediskutovať s pacientmi/ich ošetrovateľmi a upozorniť ich na potrebu starostlivého sledovania prejavov a príznakov hydrocefalu.

U pacientov s prejavmi a príznakmi zodpovedajúcimi hydrocefalu ako sú pretrvávajúce vracanie alebo bolesť hlavy, alebo nevysvetliteľné zmeny stavu vedomia a zosilnenie točenia hlavy u detí, je potrebné zvážiť vyšetrenia na hydrocefalus. Lekári by mali starostlivo sledovať každého pacienta s príslušnými prejavmi a príznakmi. Pacienti s diagnostikovaným hydrocefalom musia byť okamžite odoslaní na špecializované pracovisko, kde sa im poskytne odborná lekárska starostlivosť.

Liečba hydrocefalu u pacientov s SMA spočívala v zavedení ventrikulo-peritoneálneho shuntu (VPS).

Najmenej dve deti s komunikujúcim hydrocefalom počas liečby Spinrazou boli liečené zavedením ventrikulo-peritoneálneho shuntu.

Je len obmedzené množstvo informácií o ďalšej účinnosti Spinrazy po implantácii VPS.

Lekári by mali starostlivo sledovať a vyšetrovať pacientov, ktorí po zavedení VPS pokračujú v liečbe Spinrazou. Pacientov/ich ošetrovateľov je potrebné informovať, že riziká a prínosy liečby Spinrazou u pacientov s VPS nie sú známe.

Stručný popis piatich prípadov, ktoré boli nahlásené do 6. júla 2018:

U 4-mesačného dievčatka s SMA typu I, ktoré dostalo tri dávky Spinrazy, došlo k zväčšeniu veľkosti hlavy a letargii a bol u nej diagnostikovaný komunikujúci hydrocefalus. Zo vzorky CSF sa nedokázala prítomnosť infekcie. Pacientke bol zavedený VPS. Pacientka naďalej podstupuje liečbu Spinrazou.

U pacienta vo veku 6 mesiacov s SMA typu I, ktorý dostal štyri dávky Spinrazy sa objavili prejavy a príznaky zvýšeného intrakraniálneho tlaku s nystagmom a s napätou fontanelou. Bol zistený komunikujúci hydrocefalus s nápadne zväčšenými CSF priestormi. Spinálne vyšetrenie pomocou magnetickej rezonancie nepreukázalo prítomnosť expanzívnych lézií alebo krvácania. Pacientovi bol zavedený VPS a naďalej podstupuje liečbu Spinrazou.

U trojročného pacienta s SMA typu I bol po podaní dvoch dávok Spinrazy magnetickou rezonanciou diagnostikovaný komunikujúci hydrocefalus. Hydrocefalus sa neliečil, ale pacient je sledovaný na neurochirurgickej klinike. Liečba Spinrazou bola ukončená.

U päťmesačného chlapčeka s SMA typu I sa po podaní štyroch dávok Spinrazy objavil makrocefalus a diagnostikovaný bol komunikujúci hydrocefalus. Z odobratej vzorky CSF sa nedokázala prítomnosť infekcie. Pacientovi bola zavedená vonkajšia komorová drenáž a čaká na VPS. Plánuje sa, že pacient bude pokračovať v liečbe Spinrazou.

Komunikujúci hydrocefalus bol diagnostikovaný u dospelých pacientok liečených Spinrazou. Tieto pacientky mali tiež popísanú skoliózu.

Súhrn charakteristických vlastností lieku a písomná informácia pre používateľa Spinrazy sa budú aktualizovať tak, aby zahŕňali tieto nové upozornenia a opatrenia.

### **Hlásenie nežiaducich reakcií**

Hlásenie podozrení na nežiaduce reakcie po registrácii lieku je dôležité. Umožňuje priebežné monitorovanie pomeru prínosu a rizika lieku. Od zdravotníckych pracovníkov sa vyžaduje, aby hlásili akékoľvek podozrenia na nežiaduce reakcie na Štátny ústav pre kontrolu liečiv, Sekcia klinického skúšania liekov a farmakovigilancie, Kvetná ul. 11, SK-825 08 Bratislava 26, Tel: + 421 2 507 01 206, e-mail: neziaduuce.ucinky@sukl.sk. Tlačivo na hlásenie nežiaduceho účinku je na webovej stránke [www.sukl.sk](http://www.sukl.sk) v časti Lieky/Bezpečnosť liečiv. Formulár na elektronické podávanie hlásení: <https://portal.sukl.sk/eskadra/>.

### **Kontaktné miesto spoločnosti**

Biogen Slovakia s.r.o.  
Aupark Tower  
Einsteinova 24  
851 01 Bratislava

S pozdravom,



---

MUDr. Dagmar Štefanová  
Medicínske oddelenie  
Biogen Slovakia s.r.o.  
[medinfoslovakia@biogen.com](mailto:medinfoslovakia@biogen.com), [www.biogen.sk](http://www.biogen.sk)  
Tel.: 02/32334008