

# Nusinersen

( S p i n r a z a )

COMERCIALIZADO  
EN 2018 EN ESPAÑA



Comienzan ensayos clínicos:

**Año 2015**

EMA recomienda comercialización:

**Año 2017**

Comercialización en España:

**Año 2018**

Tratamiento indicado para:

**AME 5q**

En tratamiento:

**Bebés, niños, jóvenes y adultos**

Empresa farmacéutica:

**Biogen**

El primer tratamiento para la atrofia muscular espinal (AME), tipo 5q, aprobado por la Agencia Europea del Medicamento (EMA). Está disponible en más de 40 países . Publicados resultados de los ensayos clínicos Cherish y Endear.

## ¿EN QUÉ CONSISTE NUSINERSEN (SPINRAZA)?

La Atrofia Muscular Espinal es causada por una mutación en el gen SMN1, el encargado de producir la proteína SMN (neurona motora de supervivencia). Esta proteína también es producida en el gen SMN2, pero solamente una pequeña proporción (10 %) de la proteína SMN que produce es totalmente funcional.

Al carecer del gen SMN1 y ser poco funcional la producción de la proteína SMN del gen SMN2, los niveles son insuficientes y provocan que las motoneuronas (neuronas responsables del movimiento ubicadas en la médula espinal) se deterioren y mueran, perdiendo a su vez la musculatura.

Nusinersen es un oligonucleótido antisentido (ASO) diseñado para aumentar la cantidad de proteína de neurona motora de supervivencia (SMN) producida por el gen SMN2.

Los medicamentos oligonucleotídicos antisentido (ASO) son pequeños fragmentos de material genético sintético que se unen al ácido ribonucleico (ARN). Se pueden describir como parches moleculares, porque pueden diseñarse específicamente para modificar la forma en que se lee un gen.

## ¿CÓMO FUNCIONA NUSINERSEN (SPINRAZA)?

En el caso de la AME, los oligonucleotídicos antisentido ASO actúan con precisión sobre el gen SMN2: y lo "parchean" para actuar como SMN1 y producir así la cantidad necesaria de la proteína SMN.

El tratamiento se administra mediante inyección intratecal en el líquido que rodea la médula espinal, donde residen las neuronas motoras.

En España el tratamiento con Nusinersen se rige por un protocolo fármaco-clínico donde se establecen los criterios para su acceso o mantenimiento. Tanto fundAME como los especialistas clínicos consideramos que el protocolo establece criterios inadecuados, por lo que se está solicitando su modificación. Recientemente se publicó el consenso RET-AME en la prestigiosa revista Neurología, de la Sociedad Española de Neurología (SEN).