

Egnethetsvurdering

ID-nummer	ID2017_001
Handelsnavn (virkestoff)	Spinraza (nusinersen)
Virkningsmekanisme	Pasienter med spinal muskelatrofi (SMA) mangler survival motor nevron (SMN) proteiner. Nusinersen er et syntetisk anti-sense oglionukleotid som muliggjør at SMN2 genene produserer SMN proteiner av full lengde.
Regulatorisk status	Anmodningen gjelder en ny, høyere dosering for et kjent virkestoff. Ny dosering fikk markedsføringstillatelse (MT) i Europa 09.01.2026 (1).
HTAR	Er metoden omfattet av regelverket for felles europeisk utredning av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)? Ja ☐ Nei ☒
Aktuell indikasjon	Behandling av 5q spinal muskelatrofi.
Dosering	Fra før har følgende lavdoseregime MT, og er innført: Dette regimet administreres med en laddningsdose på 12 mg på dag 0, 14, 28 og 63, og deretter en vedlikeholdsdose på 12 mg én gang hver 4. måned. Følgende høydoseregime har nå fått MT: En 50 mg laddningsdose skal administreres på dag 0 og dag 14. En vedlikeholdsdose på 28 mg skal deretter administreres én gang hver 4. måned. Pasienter som nå behandles med nusinersen 12 mg kan overføres til doseringsregimet med 50/28 mg med én laddningsdose på 50 mg som gis minst 4 måneder (+/- 14 dager) etter siste dose på 12 mg. Vedlikeholdsdosen på 28 mg skal deretter administreres én gang hver 4. måned. Administrasjon er lik for lavdose- og høydoseregimene, intratekal administrasjon. Behandlingen er langvarig i begge tilfeller. For pasienter som <u>ikke</u> tidligere har mottatt nusinersen, så innebærer høydoseregimet færre intratekale administrasjoner ved oppstart enn lavdoseregimet. Ved vedlikeholdsbehandling administreres nusinersen med samme hyppighet i de to regimene.
Forslag	Anmodning om vurdering
Innsendt av	Biogen Norway AS
Bakgrunn	Biogen foreslår en kostnadssammenligning av nusinersen 50/28 mg og nusinersen 12 mg.
Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter	Nusinersen lavdoseregime er innført med vilkår til behandling av barn med SMA, se metodesiden (ID2017_001). Godkjent, oppdatert preparatomtale for Spinraza (1), samt EMAs evalueringsrapport (EPAR) for høydoseregimet (2) beskriver følgende: Effekt og sikkerhet for nusinersen 50/28 mg hos spedbarn, barn og voksne med SMA ble vurdert i to studier (SM203/DEVOTE og SM302/ONWARD) hos symptomatiske SMA-pasienter i alderen 14 dager til 65 år på tidspunktet for første studiedose.

	SM203 del A var en sikkerhetsevaluering og beskrives ikke nærmere her. SM203 del B var en randomisert, dobbeltblindet evaluering av sikkerhet og effekt av 50/28 mg nusinersen hos behandlingsnaive pasienter med infantil symptomdebut og senere symptomdebut. Del B hadde statistisk styrke til å vurdere effekt hos pasienter med infantil symptomdebut i gruppen som fikk 50/28 mg vs. en forhåndsspesifisert matchet shamgruppe fra studie CS3B (ENDEAR, har tidligere inngått i dokumentasjonsgrunnlaget for metodevurderingen av ID2017_001). Aktiv komparator med doseringsregimet 12 mg i studie SM203 del B ga støttende dokumentasjon, men studien var ikke designet for, og hadde ikke, tilstrekkelig styrke til å påvise statistisk signifikante behandlingsforskjeller mellom de som ble randomisert til 50/28 mg og 12 mg nusinersen. SM203 del C var en åpen evaluering av sikkerhet og effekt hos barn og voksne med infantil symptomdebut eller senere symptomdebut som hadde gått over fra regimet med 12 mg til regimet med 50/28 mg. Pasientene i del C hadde gjennomsnittlig forbedring på måleverktøyene HFMSE (Hammersmith Functional Motor Scale Expanded)) og RULM (revised upper limb module) etter at det startet på dosen 50/28 mg. SM302 er en oppfølgingsstudie av SMN203. Denne er enda pågående. Grunnet studiedesignet er effektresultatene vanskelig å tolke. Samlet vurdering av effekt: EMA vurderte i EPAR at totaliteten av evidens tyder på at 50/28 mg og 12 mg nusinersen regimene har en lignende effekt. Siden studiene ikke kunne bekrefte noen klare fordeler med den høyere dosen sammenlignet med den lavere, bør begge regimene fremdeles være tilgjengelig. Av samme grunn anbefaler ikke preparatomtalen det ene regimet over det andre. Samlet vurdering av sikkerhet: EMA vurderte i EPAR at nusinersen 50/28 mg ser ut til å tolereres bra, og at sikkerhetsprofilen samsvarer med det som er kjent for nusinersen 12 mg. Sikkerhetsprofilen på lang sikt er bedre kjent for lavdose- enn høydoseregimet.
Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	DMP har opplyst saken i egnethetsvurderingen, og vurderer at en metodevurdering i liten grad vil kunne tilføre ytterligere informasjon av betydning for beslutningstaker. DMP mener opplysninger i egnethetsvurderingen sammen med et prisnotat kan være tilstrekkelig som beslutningsstøtte i denne saken.

Referanser:

- 1: Preparatomtale [Spinraza, INN-nusinersen](#)
- 2: EPAR [Spinraza, INN-nusinersen](#)

Versjonslogg*

Dato	Hva
11.08.2026	Egnethetsvurdering ferdigstilt hos DMP

*Egnethetsvurderinger oppdateres ikke regelmessig. Det kan tilkomme endringer i regulatorisk status og godkjent indikasjonsordlyd. For informasjon om endringer, se [Legemiddelsøk.no](https://legemiddelsøk.no). Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.