23 декабря 2016 года FDA был одобрен лекарственный препарат Spinraza (Nusinersen) для лечения спинальной мышечной атрофии (далее - СМА). Это первый и пока единственный препарат, утверждённый для терапии при СМА. Препарат лечит как детей, так и взрослых. По результатам клинических испытаний Spinraza останавливает прогрессирование СМА и значительно улучшает моторную функцию.  
Spinraza (Nusinersen) модулирует ген SMN2, функционально превращая его в ген SMN1, тем самым увеличивая уровень белка SMN в центральной нервной системе. Препарат работает на ЦНС и периферические ткани, метаболизируется посредством экзонуклеазного, симулированного гидролиза и не взаимодействует с ферментами CYP450.

Все наши семьи со СМА после появления лекарства очень надеятся на светлое будущее. Новый препарат доказал свою эффективность и даёт всем детям и взрослым со СМА надежду на лечение. До сих пор СМА было смертельным приговором, теперь у многих появляется шанс выжить и сделать свою жизнь более комфортной, сгладив неудобства и страдания, которые присуще этому заболеванию.

Чем раньше начало лечения, тем заметнее и ощутимее положительный результат, поэтому желательно раннее начало лечения.