

Нусинерсен у взрослых пациентов со спинальной мышечной атрофией 5q: неинтервенционное многоцентровое наблюдательное когортное исследование

Дизайн исследования и пациенты

Исходные характеристики

Результаты оценки эффективности

Результаты оценки безопасности

Выводы автора

Список сокращений

Дизайн исследования и пациенты



Результаты проспективного наблюдательного когортного исследования, проводившегося в десяти академических центрах клинических исследований в Германии



в регистре SMARTCARE



со СМА 5q I–IV типа, получавшие терапию нусинерсеном ≥ 6 месяцев; оценка соответствия критериям отбора (E), а затем оценки, проводимые через установленные промежутки времени

1

Первичная конечная точка
Изменение оценки по шкале HFMSE относительно исходного уровня

2

Вторичные конечные точки
Изменение оценки по шкале RULM и показателя T6MX относительно исходного уровня

Нусинерсен у взрослых пациентов со спинальной мышечной атрофией 5q: неинтервенционное многоцентровое наблюдательное когортное исследование

Дизайн исследования
и пациенты

**Исходные
характеристики**

Результаты оценки
эффективности

Результаты оценки
безопасности

Выводы
автора

Список
сокращений

Исходные характеристики

6
МЕСЯЦЕВ

n = 124

10
МЕСЯЦЕВ

n = 92

14
МЕСЯЦЕВ

n = 57



Средний (диапазон) возраст на момент лечения, г.	36 (16–65)	37 (16–65)	33 (16–59)
Способные ходить пациенты, %	37	38	40
Спондилодез в анамнезе, %	23	20	25
Средняя (SD) оценка по шкале HFMSE	20,74 (21,39)	22,95 (21,66)	24,65 (21,83)
Средняя (SD) оценка по шкале RULM	20,87 (13,27)	23,00 (12,80)	23,85 (12,16)
Средняя (SD) дистанция в T6MX, м	321,76 (217,66)	353,03 (218,46)	371,43 (210,34)

Нусинерсен у взрослых пациентов со спинальной мышечной атрофией 5q: неинтервенционное многоцентровое наблюдательное когортное исследование

Дизайн исследования
и пациенты

Исходные
характеристики

Результаты оценки
эффективности

Результаты оценки
безопасности

Выводы
автора

Список
сокращений

Результаты оценки эффективности

6
МЕСЯЦЕВ

n = 124

10
МЕСЯЦЕВ



n = 92

14
МЕСЯЦЕВ



n = 57

	Пациенты, включённые в анализ первичной конечной точки	124	92	57
---	---	------------	-----------	-----------


Оценка по шкале HFMSE

	Среднее изменение ^a	1,73 (1,05–2,41) p < 0,0001	2,58 (1,76–3,39) p < 0,0001	3,12 (2,06–4,19) p < 0,0001
	Клинически значимое улучшение (≥3 балла)	28%	35%	40%

Оценка по шкале RULM

	Среднее изменение ^a	0,66 (0,26–1,05) p = 0,0007; n = 120	0,59 (0,15–1,03) p = 0,0014; n = 90	1,09 (0,62–1,55) p < 0,0001; n = 58
	Клинически значимое улучшение (≥2 балла)	23%	НД	НД

Дистанция в Т6МХ, метры

	Среднее изменение ^a	22,1 (8,7–35,6) p = 0,0022; n = 47	31,1 (15,2–47,1) p < 0,0001; n = 37	46,0 (25,4–66,6) p < 0,0001; n = 25
---	--------------------------------	---	--	--

РЕАЛЬНАЯ КЛИНИЧЕСКАЯ ПРАКТИКА
В ФОКУСЕ



Более выраженное
улучшение
двигательной
функции
коррелировало
с меньшей тяжестью
заболевания на
исходном уровне,
согласно улучшению
оценки по шкале
HFMSE после
6 месяцев лечения

Не отмечалось
корреляции между
улучшением
двигательной
функции и возрастом

Нусинерсен у взрослых пациентов со спинальной мышечной атрофией 5q: неинтервенционное многоцентровое наблюдательное когортное исследование

Дизайн исследования и пациенты

Исходные характеристики

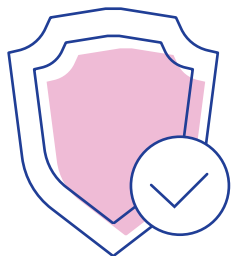
Результаты оценки эффективности

Результаты оценки безопасности

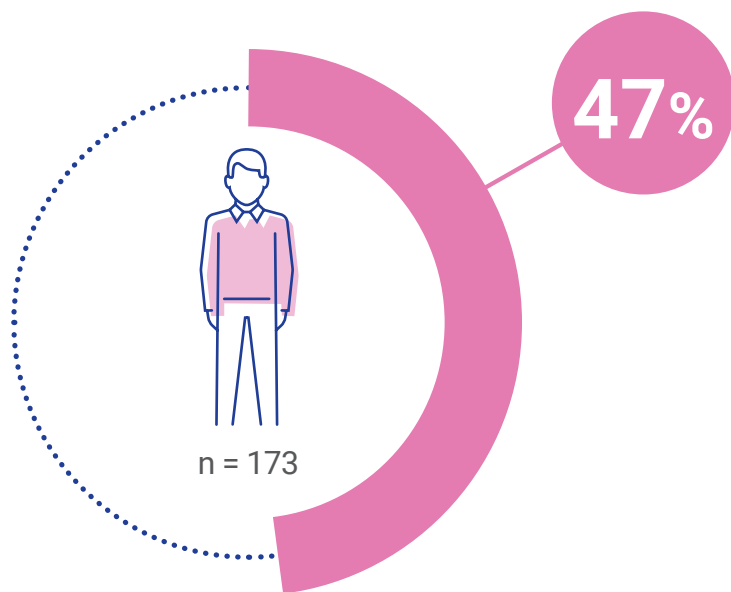
Выводы автора

Список сокращений

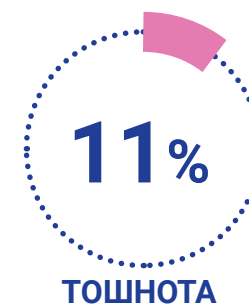
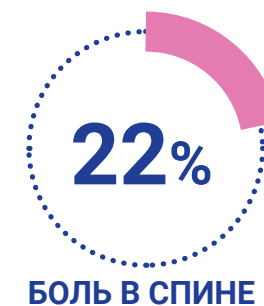
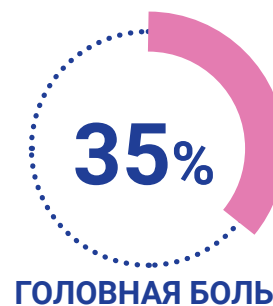
Результаты оценки безопасности



Любое НЯ



Наиболее частые



Нусинерсен у взрослых пациентов со спинальной мышечной атрофией 5q: неинтервенционное многоцентровое наблюдательное когортное исследование

Дизайн исследования
и пациенты

Исходные
характеристики

Результаты оценки
эффективности

Результаты оценки
безопасности

**Выводы
автора**

Список
сокращений

Выводы автора



Это исследование доказывает **безопасность и эффективность** лечения **нусинерсеном** у взрослых пациентов со СМА 5q, которое обеспечивает статистически значимое улучшение двигательной функции, наблюдаемое во всех временных точках.

Нусинерсен у взрослых пациентов со спинальной мышечной атрофией 5q: неинтервенционное многоцентровое наблюдательное когортное исследование

Дизайн исследования
и пациенты

Исходные
характеристики

Результаты оценки
эффективности

Результаты оценки
безопасности

Выводы
автора

Список
сокращений

Список сокращений



Hagenacker T., et al. *Lancet Neurol.* 2020; 19 (4): 317–325.

^aСреднее различие (95% ДИ) относительно исходного уровня.

Т6МХ — тест с 6-минутной ходьбой; НЯ — нежелательное явление; HFMSE — расширенная шкала оценки двигательной функции больницы Хаммерсмит; НД — нет данных; RULM — пересмотренный модуль оценки двигательной функции верхних конечностей.