

Двигательная функция у пациентов со СМА II и III типа, получавших нусинерсен: критический обзор и метаанализ

Методология

Оценка конечных точек

Оценки по шкале HFMSSE

Оценки по шкале RULM

Исходы со стороны двигательной функции

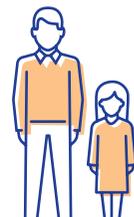
Выводы автора

Список сокращений

Методология

При поиске в соответствии с рекомендациями PRISMA в онлайн-базах данных (PubMed, Medline, Web of Science, CINAHL, PsycINFO и EMBASE) и при ручном рассмотрении списков литературы включённых статей были найдены рецензируемые статьи о лечении нусинерсеном двигательной функции при СМА

Поиск проводился по январь 2021 г.



Взрослые и дети с естественным течением СМА II и III типа по сравнению с лечением нусинерсеном



Способные и неспособные ходить пациенты



Процесс поиска и отбора статей

- Выявлено **14 627** статей, из которых скрининг прошли 9276 статей
- **55** полнотекстовых статей были оценены на предмет соответствия критериям отбора, 30 из них были включены в анализ, в том числе следующие когорты:

	Получали лечение	Естественное течение заболевания
Взрослые пациенты	15	10
Дети	7	6

В 6 статьях представлены данные как по взрослым, так и по детям

В одной статье представлены данные как пациентов, получавших лечение, так и пациентов, не получавших лечение

Анализ данных

Изменение показателей двигательной функции
Объединённый анализ с использованием моделей со случайными эффектами

Двигательная функция у пациентов со СМА II и III типа, получавших нусинерсен: критический обзор и метаанализ

Методология

Оценка конечных точек

Оценки по шкале HFMSE

Оценки по шкале RULM

Исходы со стороны двигательной функции

Выводы автора

Список сокращений

Оценка конечных точек

Шкала оценки двигательной функции

Количество статей, в которых сообщалось об исходах пациентов, получавших лечение

Количество статей, в которых сообщалось об исходах пациентов, не получавших лечение

HFMSE	13 	5 
RULM	13 	5 
T6MX	8 	1 



Двигательная функция у пациентов со СМА II и III типа, получавших нусинерсен: критический обзор и метаанализ

Методология

Оценка конечных точек

Оценки по шкале HFMSE

Оценки по шкале RULM

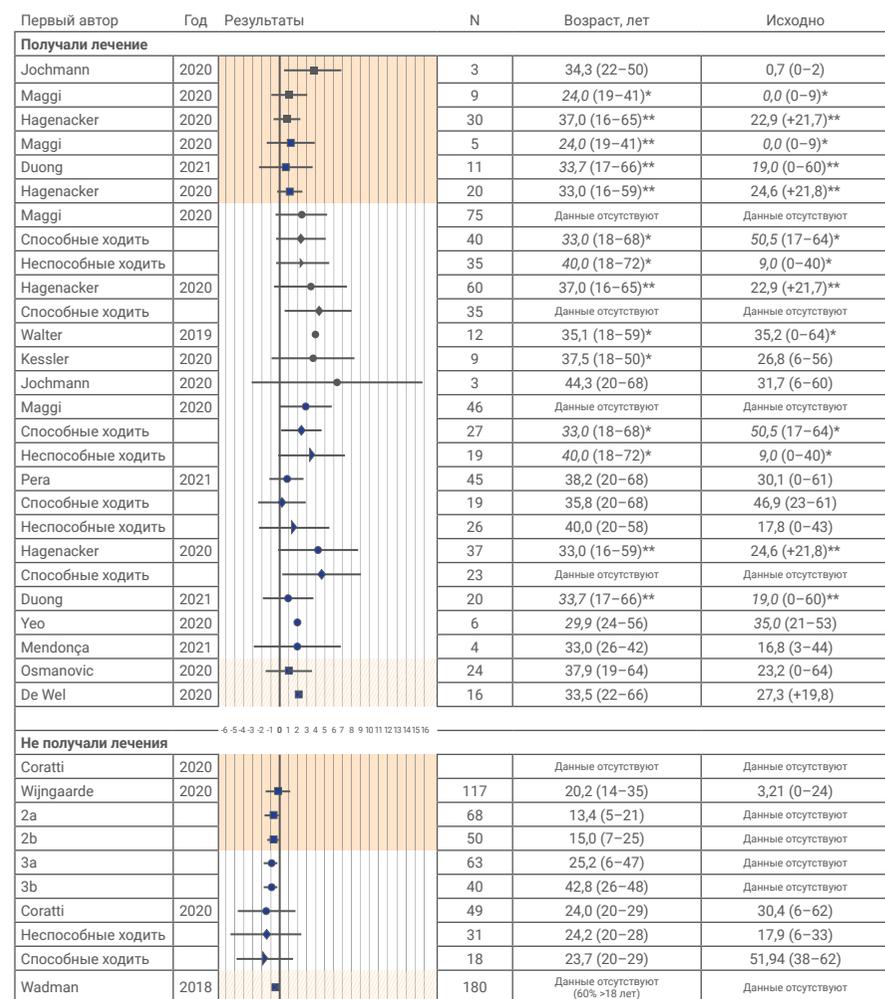
Исходы со стороны двигательной функции

Выводы автора

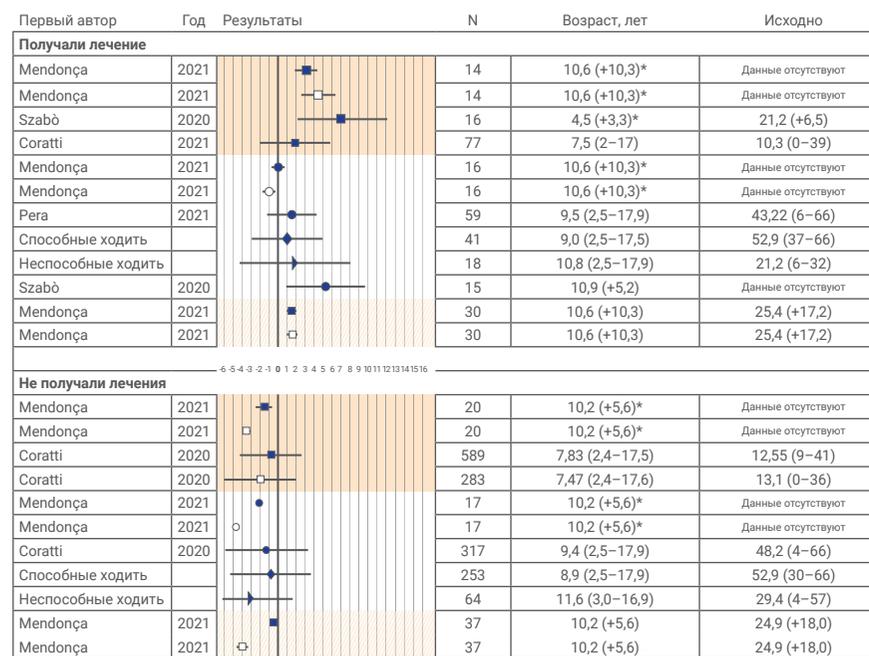
Список сокращений

Систематический обзор литературы: среднее (SD) изменение оценки по шкале HFMSE

Взрослые пациенты



Дети



Квадрат – СМА II типа; кружок – СМА III типа; ромб – ходячие пациенты со СМА III типа; треугольник – неспособные ходить пациенты со СМА III типа; символ – смешанные фенотипы; серый – ~10 мес. с начала применения препарата; синий – ~12 мес. с начала применения препарата; белый – ~24 мес. после инфузии; светло-красная заливка – СМА II типа; белая заливка – СМА III типа; полосатая заливка – смешанные фенотипы; курсив – медиана; курсивом не выделено – среднее значение. *Среднее/медиана в исходной популяции, не исключая выбывших через 10, 14 или 24 месяца наблюдения. **Среднее/медиана в исходной популяции пациентов со СМА II и III типа вместе взятых.



Двигательная функция у пациентов со СМА II и III типа, получавших нусинерсен: критический обзор и метаанализ

Методология

Оценка конечных точек

Оценки по шкале HFMSSE

Оценки по шкале RULM

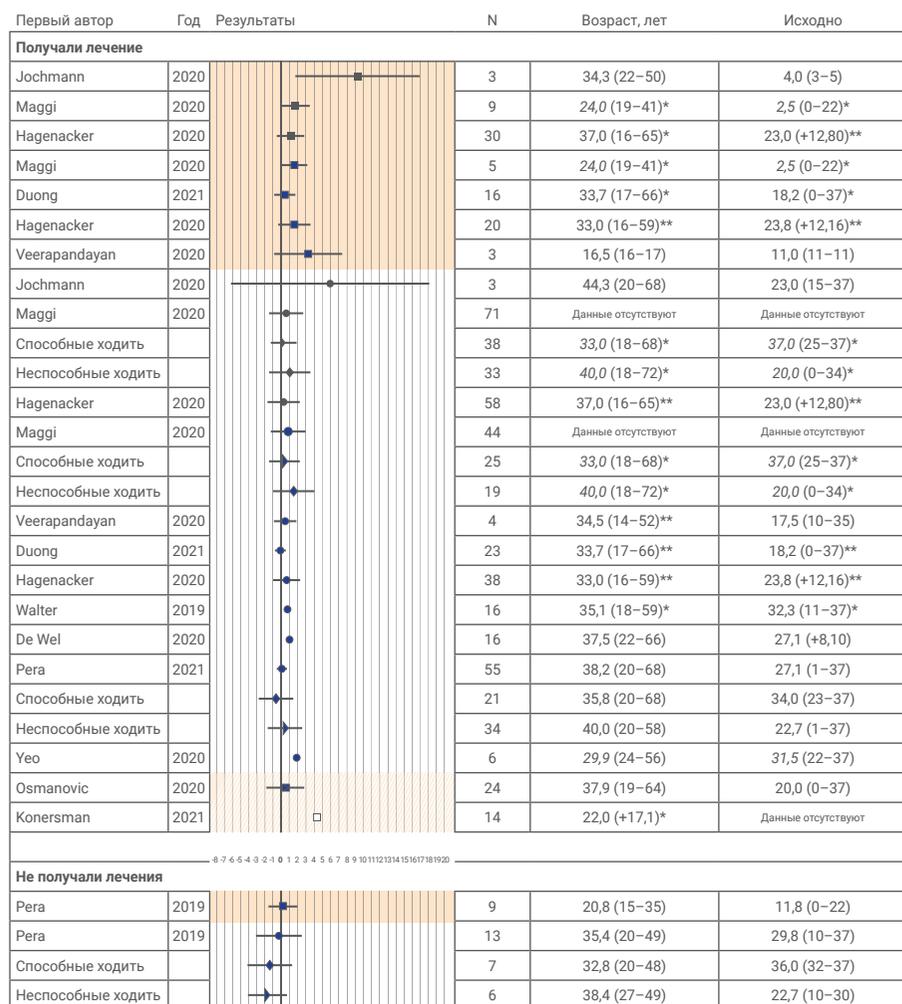
Исходы со стороны двигательной функции

Выводы автора

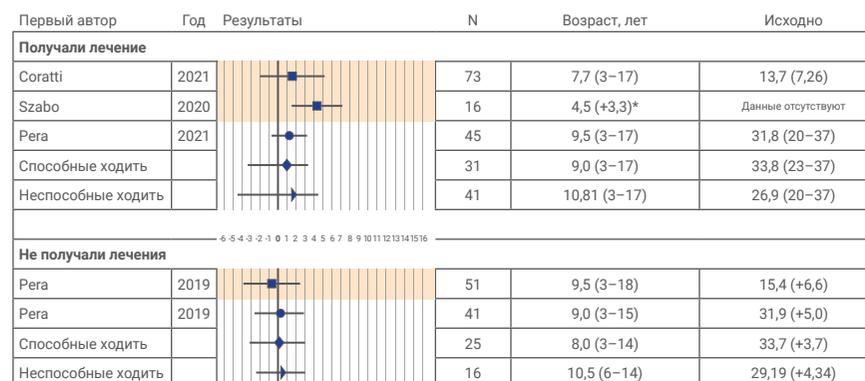
Список сокращений

Систематический обзор литературы: среднее (SD) изменение оценки по шкале RULM

Взрослые пациенты



Дети



Квадрат – СМА II типа; кружок – СМА III типа; ромб – способные ходить пациенты со СМА III типа; треугольник – неспособные ходить пациенты со СМА III типа; символ – смешанные фенотипы; серый – ~10 мес. с начала применения препарата; синий – ~12 мес. с начала применения препарата; белый – ~24 мес. после инфузии; светло-красная заливка – СМА II типа; белая заливка – СМА III типа; полосатая заливка – смешанные фенотипы; курсив – медиана; курсивом не выделено – среднее значение. *Среднее/медиана в исходной популяции, не исключая выбывших через 10, 14 или 24 месяца наблюдения. **Среднее/медиана в исходной популяции пациентов со СМА II и III типа вместе взятых.



Двигательная функция у пациентов со СМА II и III типа, получавших нусинерсен: критический обзор и метаанализ

Методология

Оценка конечных точек

Оценки по шкале HFMSE

Оценки по шкале RULM

Исходы со стороны двигательной функции

Выводы автора

Список сокращений

Исходы со стороны двигательной функции: изменение с течением времени^a



Обобщённое среднее изменение относительно исходного значения (95% ДИ)

Коэффициент различия между видами лечения (SE) при многомерном метарегрессионном анализе

Показатель	Получали лечение	Не получали лечения	
HFMSE ^b 	2,27 (1,4 до 3,13)	-1,00 (-1,33 до -0,67)	3,30 (0,51) p < 0,0001
RULM ^b 	1,11 (0,53 до 1,69)	-0,47 (-0,79 до 1,74)	1,0 (0,45) p = 0,025
T6MX ^b 	19,80 (6,70 до 32,89)	-8,29 (-19,10 до 2,52)	27,81 (10,43) p < 0,008

Значимые различия между видами лечения в многомерном метарегрессионном анализе выделены жирным шрифтом. ^a Обобщённые средние изменения по сравнению с исходным уровнем включали данные как взрослых, так и детей. ^b Неоднородность была значительной и высоко значимой для всех трёх показателей: HFMSE, I² = 90%; RULM, I² = 81%; T6MX, I² = 88,6%.

Двигательная функция у пациентов со СМА II и III типа, получавших нусинерсен: критический обзор и метаанализ

Методология

Оценка конечных точек

Оценки по шкале HFMSE

Оценки по шкале RULM

Исходы со стороны двигательной функции

Выводы автора

Список сокращений

Выводы автора



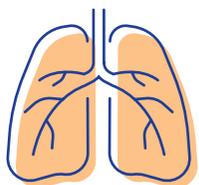
Показатели

HFMSE, RULM и T6MX улучшались у пациентов, получавших нусинерсен, независимо от возраста пациента, типа СМА и возможности самостоятельной ходьбы



Нусинерсен оказывает благоприятное воздействие на двигательную функцию у широкого круга пациентов со СМА II и III типа в течение периода наблюдения длительностью 10–14 месяцев.

Хотя провести прямое сравнение с исследованиями, в которых представлены данные о пациентах, не получавших лечения, невозможно, следует отметить, что изменения двигательной функции с течением времени в когортах пациентов, получавших лечение, были неизменно положительными, тогда как в когортах пациентов, не получавших лечения, те же изменения были неизменно отрицательными.



Примечание

В исследованиях систематически не сообщалось о проблемах безопасности или изменениях дыхательной функции



Двигательная функция у пациентов со СМА II и III типа, получавших нусинерсен: критический обзор и метаанализ

Методология

Оценка конечных точек

Оценки по шкале HFMSE

Оценки по шкале RULM

Исходы со стороны двигательной функции

Выводы автора

Список сокращений

Список сокращений



Coratti G., et al. Orphanet J. Rare Dis. 2021;16(1): 430.

T6MX — тест с 6-минутной ходьбой; HFMSE — расширенная шкала оценки двигательной функции больницы Хаммерсмит; PRISMA — система предпочтительных элементов отчётности, используемых в систематических обзорах и метаанализах; RULM — пересмотренный модуль оценки двигательной функции верхних конечностей.