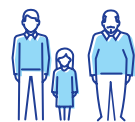


Данные об эффективности нусинерсена через 24 месяца применения при спинальной мышечной атрофии II и III типа

Дизайн исследования и пациенты



Многоцентровое наблюдательное продольное исследование с участием крупной когорты пациентов из Италии



111 детей и взрослых со СМА II или III типа получали лечение нусинерсеном в течение ≥ 24 месяцев; на исходном уровне все пациенты определены как ранее не получавшие лечение



Оценку по HFMSE и RULM проводили на исходном уровне, через 12 месяцев и через 24 месяца



Цели исследования

Сообщить данные о пациентах со СМА, полученные в реальной клинической практике, и сравнить их с имеющимися данными, полученными при изучении естественного течения заболевания

Исходные характеристики

	Все n = 111	СМА II типа n = 46	СМА III типа n = 65		Все n = 111	СМА II типа n = 46	СМА III типа n = 65
Мужской пол (%)	60 (54)	25 (54)	35 (54)	«Сидячие» пациенты, n (%)	61 (55)	38 (83)	23 (35)
Медиана (Q1–Q3) возраста, г.	12,51 (6,12–25,79)	6,66 (3,89–12,23)	17,86 (11,23–39,87)	«Ходячие» пациенты, n (%)	41 (37)	0 (0,0)	41 (63)
Возраст <18 лет, n (%)	73 (66)	40 (87)	33 (51)	Медиана (Q1–Q3) оценки по HFMSE	24 (9,5–46)	8,5 (3–16)	43 (26–52)
Медиана (Q1–Q3) возраста в популяции детей, г.	7,86 (4,66–12,32)	5,94 (3,62–10,48)	11,23 (6,44–13,93)	Медиана (Q1–Q3) оценки по RULM	28,5 (16,75–36) n = 80	15,5 (11–18,75) n = 26	35 (28–37) n = 54
«Лежачие» пациенты, n (%)	9 (28)	8 (17)	1 (1,5)				

Средние (SD) показатели оценки по функциональным шкалам

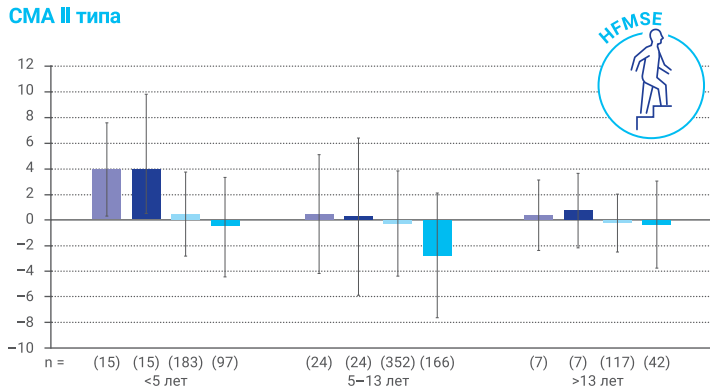
на исходном уровне и изменение через 12 и 24 месяца



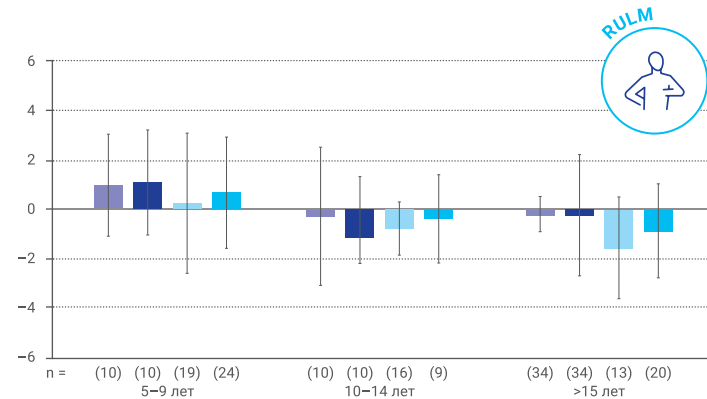
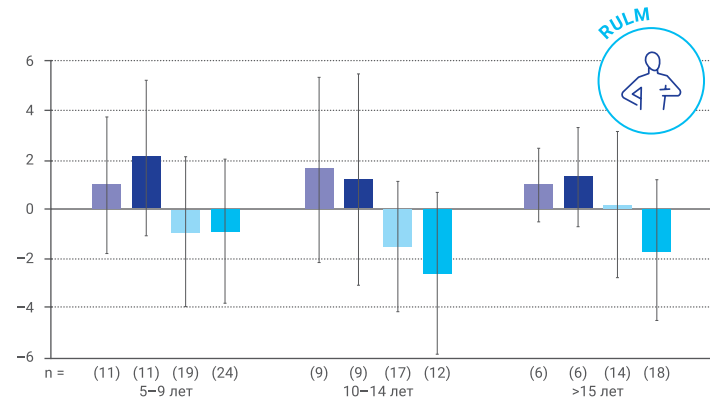
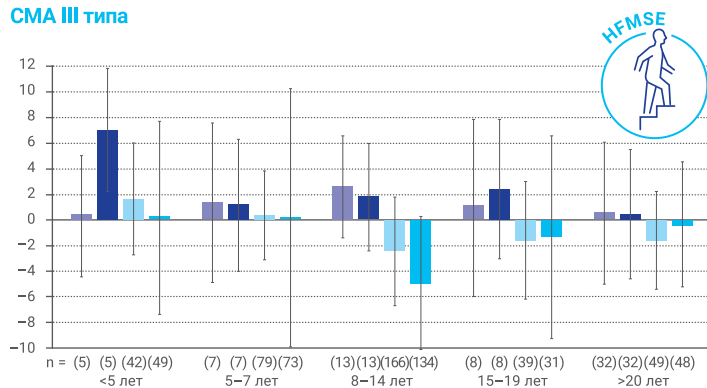
	ОЦЕНКА	ИЗМЕНЕНИЕ	ИЗМЕНЕНИЕ		ОЦЕНКА	ИЗМЕНЕНИЕ	ИЗМЕНЕНИЕ
СМА II типа: все n = 46	10,6 (9,0)	1,6 (3,7)	1,9 (4,6)	СМА II типа: все n = 26	14,2 (7,3)	1,2 (2,8)	1,6 (3,1)
СМА II типа: «лежачие» пациенты n = 8	0,6 (0,7)	0,7 (1,5)	0,6 (1,3)	СМА II типа: «лежачие» пациенты n = 6	4,5 (4,7)	1,8 (1,6)	1,3 (2,5)
СМА II типа: «сидячие» пациенты n = 38	12,7 (8,5)	1,8 (4)	2,2 (5)	СМА II типа: «сидячие» пациенты n = 20	17,1 (5,1)	1,0 (3,1)	1,7 (3,4)
III тип: все n = 65	39,5 (17,0)	0,9 (4,7)	1,5 (4,8)	III тип: все n = 54	31,5 (7,2)	0,0 (2,0)	-0,0 (2,1)
СМА III типа: неспособные ходить n = 24	22,2 (10,9)	0,5 (4,7)	-0,1 (4,6)	СМА III типа: неспособные ходить n = 33	26,8 (8,9)	0,2 (1,9)	-0,3 (2,8)
СМА III типа: способные ходить n = 41	49,7 (10,4)	1,1 (4,7)	2,4 (4,7)	СМА III типа: способные ходить n = 21	34,5 (3,6)	-0,1 (2,1)	0,1 (1,6)

Сравнение с пациентами, не получавшими лечение (естественное течение болезни)

СМА II типа



СМА III типа



■ Среднее изменение за 12 месяцев у получавших лечение пациентов

■ Среднее изменение за 24 месяца у получавших лечение пациентов

■ Среднее изменение за 12 месяцев у не получавших лечение пациентов

■ Среднее изменение за 24 месяца у не получавших лечение пациентов

Различие между получавшими и не получавшими лечение пациентами в оценке по шкале HFMSE и по RULM через 12 и 24 месяца было значимым ($p < 0,05$) независимо от возраста, за исключением оценки по RULM через 24 месяца у пациентов со СМА III типа

Оценка конечных точек: основные выводы по возрастным группам



Различие в оценке по шкале HFMSE через 24 месяца было значимым у пациентов в возрасте <5 лет или со СМА II типа ($p = 0,009$), или со СМА III типа ($p = 0,043$), но не в подгруппах более старшего возраста



Единственным различием в возрастной подгруппе 10–14 лет со СМА II типа была оценка по RULM через 12 месяцев ($p < 0,05$)

Результаты оценки безопасности



Данные по безопасности в этом исследовании не представлены

Выводы автора



Результаты данного исследования подтверждают наступление **улучшения через 12 месяцев** у пациентов, получавших лечение **нусинерсеном**, а также **дальнейшее улучшение через 24 месяца**. Эти данные соответствуют результатам клинического исследования и данным реальной клинической практики¹⁻⁴.

При сравнении этих результатов с данными, полученными при изучении естественного течения заболевания, отмечали значимое различие в оценке по шкале HFMSE и в целом значимое различие в оценке по RULM как через 12, так и через 24 месяца, между пациентами, получавшими **нусинерсен** и не получавшими лечение.

Улучшение в общей когорте пациентов за период от исходного уровня до 24 месяцев наблюдалось преимущественно за счёт когорты более младшего возраста.

Значимые изменения относительного исходного уровня ($p < 0,05$) выделены пунктирной линией. В — исходный уровень; HFMSE — расширенная шкала оценки двигательной функции больницы Хаммерсмит; Q1–Q3 — 1–3 квантили; RULM — пересмотренный модуль оценки двигательной функции верхних конечностей; СМА — спинальная мышечная атрофия. 1. Darras B.T., et al. Neurology. 2019; 92 (21): e2492–e2506. 2. Mendonca R.H., et al. J. Neuromuscul. Dis. 2021; 8 (1): 101–108. 3. Konersman C.G., et al. Neuromuscul. Disord. 2021; 31 (3): 183–193. 4. Coratti G., et al. Orphanet J. Rare Dis. 2021; 16 (1): 430.

CP-326894 | Июнь 2022
Материал предназначен для медицинских и фармацевтических работников

ООО «Джонсон & Джонсон»
Россия, 121614, Москва, ул. Крылатская, 17, корп. 2
Тел.: +7 (495) 755-83-57, факс: +7 (495) 755-83-58