

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

## Дизайн исследования и пациенты



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



в регистре SMArtCARE

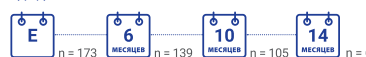


Взрослые пациенты

от 16 до 65 лет



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



1

**Первичная** конечная точка

Изменение оценки по шкале HFMSSE относительно исходного уровня

2

**Вторичная** конечная точка

Изменение оценки по шкале RULM и показателя Т6МХ относительно исходного уровня

## Исходные характеристики



n = 124



n = 92



n = 57

	6 МЕСЯЦЕВ	10 МЕСЯЦЕВ	14 МЕСЯЦЕВ
Средний (диапазон) возраст на момент лечения, г.	<b>36</b> (16–65)	<b>37</b> (16–65)	<b>33</b> (16–59)
Способные ходить пациенты, %	<b>37</b>	<b>38</b>	<b>40</b>
Спондилодез в анамнезе, %	<b>23</b>	<b>20</b>	<b>25</b>
Средняя (SD) оценка по шкале HFMSSE	<b>20,74</b> (21,39)	<b>22,95</b> (21,66)	<b>24,65</b> (21,83)
Средняя (SD) оценка по шкале RULM	<b>20,87</b> (13,27)	<b>23,00</b> (12,80)	<b>23,85</b> (12,16)
Средняя (SD) дистанция в Т6МХ, м	<b>321,76</b> (217,66)	<b>353,03</b> (218,46)	<b>371,43</b> (210,34)

## Результаты оценки эффективности





	6 МЕСЯЦЕВ	10 МЕСЯЦЕВ	14 МЕСЯЦЕВ
Пациенты, включённые в анализ первичной конечной точки	<b>124</b>	<b>92</b>	<b>57</b>

### Оценка по шкале HFMSSE

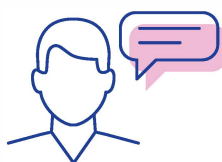
Среднее изменение <sup>a</sup>	<b>1,73</b> (1,05–2,41) p < 0,0001	<b>2,58</b> (1,76–3,39) p < 0,0001	<b>3,12</b> (2,06–4,19) p < 0,0001
Клинически значимое улучшение ( $\geq 3$ балла)	<b>28%</b>	<b>35%</b>	<b>40%</b>

### Оценка по шкале RULM

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

### Дистанция в Т6МХ, метры

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



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

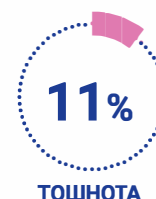
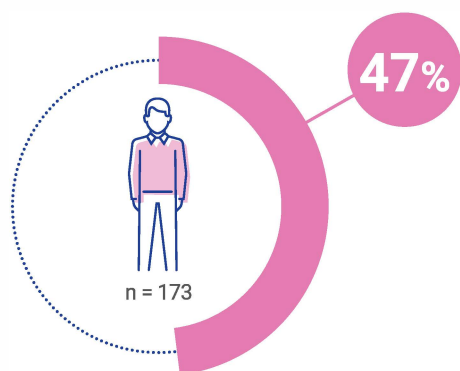
Не отмечалось корреляции между улучшением двигательной функции и возрастом

### Результаты оценки безопасности



Любое НЯ

Наиболее частые



### 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.

<sup>a</sup>Среднее 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.