

Безопасность нусинерсена и его влияние на двигательную функцию у взрослых пациентов со спинальной мышечной атрофией II и III типа

Дизайн исследования и пациенты



Открытое ретроспективное
обсервационное исследование
в крупной когорте взрослых пациентов
со СМА II или III типа из Италии

116 взрослых
в возрасте
≥18 лет



со СМА II или III типа; лечение нусинерсеном
начали в возрасте >18 лет, доступны
клинические данные как минимум исходно
и за 6 месяцев

Исходные характеристики

Общее кол-во пациентов, n	116	Пациенты со СМА III типа, способные ходить, n	52
Медиана возраста (диапазон) исходно, г.	34 (18–72)	Медиана (диапазон) оценки по шкале HFMSSE	22,5 (0–64)
СМА II типа, n	13	Медиана (диапазон) оценки по RULM n = 114	29 (0–37)
СМА III типа, n	103	Медиана (диапазон) дистанции в Т6МХ, м n = 48	322 (14–588)
Пациенты со СМА III типа, неспособные ходить, n	51	ФЖЕЛ (% от прогнозируемого) n = 86	88,5 (11–139)

Результаты оценки эффективности СМА III типа (n = 103)

Оценка по шкале HFMSSE^a

6
МЕСЯЦЕВ

10
МЕСЯЦЕВ

14
МЕСЯЦЕВ

Всего	1,48 (2,28) p < 0,0001; n = 103	2,44 (2,8) p < 0,0001; n = 75	2,85 (2,93) p < 0,0001; n = 46
Пациенты, неспособные ходить	1,37 (2,02) p < 0,0001; n = 51	2,51 (2,94) p < 0,0001; n = 35	3,53 (3,67) p = 0,0014; n = 19
Пациенты, способные ходить	1,58 (2,52) p < 0,0001; n = 52	2,38 (2,71) p < 0,0001; n = 40	2,37 (2,22) p = 0,00016; n = 27




Оценка по шкале RULM^a

Всего	0,31 (1,97) p = 0,093; n = 102	0,61 (2,08) p = 0,011; n = 71	0,86 (2,18) p = 0,012; n = 44
Пациенты, неспособные ходить	0,63 (2,48) p = 0,056; n = 51	1 (2,45) p = 0,021; n = 33	1,47 (2,5) p = 0,018; n = 19
Пациенты, способные ходить	0 (1,23) НЗ; n = 51	0,26 (1,66) НЗ; n = 38	0,4 (1,83) НЗ; n = 2

Дистанция в Т6МХ, метры^a

Пациенты, способные ходить	14,66 (27,57) p = 0,0005; n = 48	26,45 (34,6) p = 0,00019; n = 35	23,11 (51,2) p = 0,016; n = 24
----------------------------------	---	---	---

ФЖЭЛ (% от прогнозируемого)^а

	Всего	0,53 (7,77) НЗ; n = 35	4,77 (11,79) НЗ; n = 17	6,47 (9,22) p = 0,020; n = 15
	Пациенты, неспособные ходить	0 (9,04) НЗ; n = 19	3,3 (7,83) НЗ; n = 7	4,25 (8,55) НЗ; n = 8
	Пациенты, способные ходить	1,16 (6,16) НЗ; n = 16	5,8 (14,26) НЗ; n = 10	9 (9,95) p = 0,031; n = 7

Общее число ответивших на лечение^б


	Всего	53% n/N = 61/116	63% n/N = 53/84	69% n/N = 35/51
	II тип	23% n/N = 3/13	56% n/N = 5/9	60% n/N = 3/5
	III тип	56% n/N = 58/103	64% n/N = 48/75	70% n/N = 32/46

СМА II типа (n = 13)

- Оценка по RULM через 14 месяцев значимо не отличалась от исходной, но тенденция к улучшению была очевидной
- Значимые изменения при оценке других конечных точек отсутствовали



Выводы автора



В этом исследовании представлены дополнительные данные о безопасности и эффективности применения нусинерсена, полученные в условиях реальной клинической практики у взрослых пациентов со СМА II и III типа.

При этом у пациентов со СМА III типа преимущество в отношении эффективности имеет накопительный, кумулятивный характер.

Значимые средние изменения относительного исходного уровня выделены пунктирной линией. ^аСреднее (SD) изменение относительно исходного уровня. ^бУлучшение оценки по шкале HFMSE ≥ 3 баллов, по RULM ≥ 2 баллов или увеличение дистанции в Т6МХ ≥ 30 м. Т6МХ – тест с 6-минутной ходьбой; НЯ – нежелательное явление; HFMSE – расширенная шкала оценки двигательной функции больницы Хаммерсмит; НЗ – незначимо; RULM – пересмотренный модуль оценки двигательной функции верхних конечностей.