

Ожидания и восприятие взрослыми пациентами со спинальной мышечной атрофией лечения нусинерсеном

Дизайн исследования и пациенты



Наблюдательное продольное многоцентровое исследование с участием крупной когорты взрослых пациентов из Германии

151 взрослый пациент
≥18 лет



со СМА 5q, получавшие или планирующие получить лечение нусинерсеном

Методы оценки



- МУМОР2 (ожидания/восприятие лечения)
 - Позволяет выделить 2 симптома, вызывающих наибольшую озабоченность
 - 7-балльная шкала Лайкерта (0 – наилучший возможный результат; 6 – наихудший возможный результат)

- TSQM-9 (удовлетворённость лечением)
 - 9 вопросов с ответами по 5- или 7-балльной шкале
- NPS (готовность рекомендовать лечение)
 - Шкала от 0 до 10

Общее кол-во пациентов, N	151
Средний возраст (SD) на момент начала терапии, г.	36,3 (13,3)
Женщины, %	44
СМА I типа, n	10
СМА II типа, n	51
СМА III типа, n	90
Средняя (SD) оценка ALS-FRs-ex	40,1 (11,6)

Респираторная поддержка, %	24
Общая средняя продолжительность лечения нусинерсеном (SD), мес.	19,1 (10,8)
Средняя продолжительность лечения нусинерсеном (SD) до появления первых симптомов, мес.	6,1 (3,8)
Средний интервал проведения оценки при терапии нусинерсеном (SD), мес.	6,1 (5,1)

Ожидания от лечения: распределение симптомов по приоритету, согласно МУМОР2*

	Тип СМА			
	I	II	III	
Удержание головы, %	10,0 (2)	8,0 (8)	1,7 (3)	4,4 (13)
Бульбарная функция, %	15,0 (3)	11,0 (11)	1,1 (2)	5,4 (16)
Дыхательная функция, %	15,0 (3)	10,0 (10)	1,1 (2)	5,1 (15)
Двигательная функция рук, %	35,0 (7)	27,0 (27)	17,6 (31)	22,0 (65)
Двигательная функция туловища, %	5,0 (1)	12,0 (12)	11,9 (21)	11,5 (34)
Двигательная функция ног, %	0,0 (0)	10,0 (10)	37,5 (66)	25,7 (76)
Общие симптомы, %	20,0 (4)	22,0 (22)	29,00 (51)	26,0 (77)



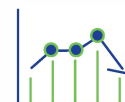
Симптомы/двигательная функция верхних конечностей были приоритетными для пациентов со СМА I/II типа



Двигательная функция нижних конечностей была приоритетной для пациентов со СМА III типа

Восприятие лечения по данным опросника MYP2 (шкала Лайкерта)

	Исходная оценка	Последующее наблюдение
Удержание головы (n = 10)	3,60	2,60**
Бульбарная функция (n = 10)	3,50	2,20**
Дыхательная функция (n = 8)	2,50	3,13
Двигательная функция рук (n = 45)	3,87	3,33**
Двигательная функция туловища (n = 21)	3,76	3,24
Двигательная функция ног (n = 49)	3,92	3,86
Общие симптомы (n = 35)	3,31	3,11
Всего (N = 178)	3,66	3,31**



Относительное снижение тяжести симптомов на 10% во время наблюдения (p < 0,001)



Значимое улучшение в отношении удержания головы (p = 0,023), функциональной оценки речи/глотания (p = 0,004) и двигательной функции рук (p = 0,001)



Удовлетворённость лечением (TSQM-9)



УВЕРЕННЫ В ТЕРАПИИ
НУСИНЕРСЕНОМ



УДОВЛЕТВОРЕННЫ
ТЕРАПИЕЙ
НУСИНЕРСЕНОМ



ПРОСТОТА
ПРИМЕНЕНИЯ



УДОБСТВО
ПРИМЕНЕНИЯ
ПО ИНСТРУКЦИИ

Готовность рекомендовать лечение (NPS)



В ЦЕЛОМ 63% ПАЦИЕНТОВ ОТВЕТИЛИ, ЧТО, ВЕРОЯТНО, ПОРЕКОМЕНДОВАЛИ БЫ
НУСИНЕРСЕН ДРУГУ ИЛИ КОЛЛЕГЕ, СТРАДАЮЩЕМУ СМА

Выводы автора



У широкого круга взрослых пациентов со СМА ожидания от лечения нусинерсеном сильно различались и зависели от тяжести заболевания, типа СМА и функциональных нарушений.

У большинства пациентов отмечались небольшие или умеренные функциональные улучшения.

В целом удовлетворённость лечением нусинерсеном была высокой, а частота, с которой пациенты готовы были рекомендовать препарат, — превосходной.

*Данные представлены в % (n) приоритетных симптомов; в целом у 151 пациента выделено 296 симптомов. **Статистически значимая разница по сравнению с первоначальной оценкой; медиана периода наблюдения 6,1 (0,5–16) месяца. ALS-FRS-ех – расширенная шкала функциональной оценки при боковом амиотрофическом склерозе; мес. – месяцы; MYP2 – опросник «Оцените свои результаты лечения» (Measure Yourself Medical Outcome Profile); NPS – показатель лояльности клиентов; СМА – спинальная мышечная атрофия; TSQM-9 – опросник удовлетворённости терапией при приёме лекарств; г. – годы.

CP-346008
Сентябрь 2022

Материал предназначен для медицинских и фармацевтических работников
Филиал общества с ограниченной ответственностью «Джонсон & Джонсон»
в Республике Казахстан

050040, г. Алматы, ул. Тимирязева, 42, пав. 23А, Тел.: (727) 356 - 88 - 11

Meyer T., et al.
Eur. J. Neurol.
2021; 28 (8): 2582–2595.

janssen PHARMACEUTICAL COMPANIES OF