

Удовлетворённость лечением спинальной мышечной атрофии 5q при терапии нусинерсеном

Дизайн исследования и пациенты



Многоцентровое одномоментное наблюдательное исследование с участием крупной когорты пациентов из Германии

95 взрослых/подростков от 10 до 65 лет



со СМА 5q, получающие терапию нусинерсеном

Цели исследования

Оценить удовлетворённость лечением и выяснить, приносит ли эта ОЛП пользу при мониторинге состояния пациентов со СМА



Оценка по опроснику TSQM-1.4® и оценка соответствующих факторов пациента проводились одномоментно (в ходе обычного терапевтического визита)

Результаты коррелировали с изменениями показателей двигательной функции (при оценке по опроснику TSQM-1.4® по сравнению с началом лечения)

Характеристики пациентов



Все (n = 91)



Пациенты, способные ходить (n = 26)



Пациенты, неспособные ходить (n = 65)

Женщины, %	36	42	34
Медиана возраста (диапазон), г.	34 (10–65)	35,5 (19–65)	33 (10–65)
СМА, тип I/II/III/IV, %	3/36/59/1	0/0/96/4	5/51/45/0
Сколиоз, %	56	4	77
ЛП под контролем КТ	48	4	66

Оценка двигательной функции на начало терапии нусинерсеном

Средняя оценка по шкале RULM (SD)	17,7 (13,2) n = 78	34,5 (4,7) n = 22	11,1 (8,8) n = 56
Средняя оценка по шкале HFMSE (SD)	17,4 (21,3) n = 78	48,5 (11,9) n = 22	5,3 (6,8) n = 56

Оценка двигательной функции на момент включения в исследование

Средняя оценка по шкале RULM (SD)	18,6 (13,1) n = 91	35,5 (3,2) n = 26	11,8 (8,6) n = 65
Средняя оценка по шкале HFMSE (SD)	18,2 (22,3) n = 91	51,2 (11,0) n = 26	5 (6,0) n = 65

Результаты оценки удовлетворённости лечением



Все (n = 91)



Пациенты, способные ходить (n = 26)



Пациенты, неспособные ходить (n = 65)

p-значение^a

Эффективность (макс. = 100)	64,8 (20,6; 0–100) n = 87	72,9 (18,2; 28–100) n = 26	61,3 (20,7; 0–100) n = 61	0,014
Побочные эффекты (макс. = 100)	93,5 (14,8; 38–100) n = 91	91,1 (16,4; 44–100) n = 26	94,4 (14,1; 38–100) n = 65	0,212
Удобство применения (макс. = 100)	43,6 (20,2; 0–89) n = 88	54,1 (18,7; 6–89) n = 23	39,8 (19,5; 0–78) n = 65	0,003

Общая удовлетворённость (макс. = 100)	73,1 (21,0; 7-100) n = 91	78,9 (18,7; 21-100) n = 26	70,7 (21,5; 7-100) n = 65	0,060
Суммарная оценка по опроснику TSQM-1.4® (макс. = 400)	275,8 (54,2; 66,9-372,2) n = 84	302,7 (42,4; 199,2-365,1) n = 23	265,7 (55,0; 66,9-372,2) n = 61	0,003

При медиане продолжительности лечения 10 месяцев



>90% были хотя бы частично удовлетворены лечением, **44%** весьма/чрезвычайно удовлетворены

>90% удовлетворены возможностью лечения/профилактики СМА

~80% удовлетворены снижением выраженности симптомов



<50% отмечали, что нусинерсен был прост в применении



Из всех характеристик пациента и характеристик, связанных с заболеванием, возможность самостоятельной ходьбы больше всего влияла на удовлетворённость лечением



5 неспособных ходить пациентов с ухудшением двигательной функции прекратили лечение. Все они отмечали неудовлетворённость эффективностью и удобством лечения



Корреляция между удовлетворённостью лечением и двигательной функцией



Изменение оценки по шкале RULM имело более выраженную положительную корреляцию с удовлетворённостью лечением, чем изменение оценки по шкале HFMSE



При применении нусинерсена пациенты с более благоприятными исходами со стороны двигательной функции сообщали о **большей удовлетворённости**



Улучшение и стабилизация двигательной функции считались удовлетворительными ответами на лечение

Ограничения



- Не проводилось сравнение удовлетворённости лечением между несколькими вариантами лечения СМА
- Неравный размер подгрупп пациентов, оцениваемых в разные моменты времени, может снизить статистическую мощность исследования
- Опросник TSQM-1.4® не включает аспекты, специфичные для СМА или нервно-мышечных заболеваний

Примечание:

данные по безопасности в данном исследовании не представлены

Выводы автора



Большинство пациентов были **удовлетворены эффективностью** лечения нусинерсеном.

Улучшение, а также стабилизация двигательной функции были связаны с удовлетворительной **эффективностью** лечения.

Более **удобные способы доставки** действующих веществ могут повысить **удовлетворённость** лечением.

Авторы предлагают **ввести** в клиническую практику **опросник TSQM-1.4®** в качестве дополнительной ОЛП при СМА.

*Значения, выделенные пунктирной линией, являются статистически значимыми для подгрупп пациентов, способных и неспособных ходить. КТ – компьютерная томография; HFMSE – расширенная шкала оценки двигательной функции больницы Хаммерсмит; ЛП – люмбальная пункция; ОЛП – оценка результатов лечения пациентами; RULM – пересмотренный модуль оценки двигательной функции верхних конечностей; СМА – спинальная мышечная атрофия; TSQM-1.4® – опросник удовлетворённости лечением, версия 1.4®; г. = годы.

CP-346017
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

Osmanovic A., et al.
Ther. Adv. Neurol. Disord.
2021; 14: 1-19.