

2 сентября 2019 года

Уважаемые члены правления СМА Европа,

В ответ на ваш запрос о сведениях, касаемых текущих исследований компании Biogen в области спинальной мышечной атрофии, мы рады поделиться с вами информацией о недавно представленных результатах исследования NURTURE. Исследование NURTURE - это находящееся на второй фазе продолжающееся открытое исследование нусинерсен с участием 25 пациентов со СМА, которые получили первую инъекцию до шести недель жизни предсимптоматически.

Во время исследования, нусинерсен был введён 25 младенцам с генетически подтверждённым диагнозом СМА в возрасте шести недель или младше в предсимптоматической стадии. Скорее всего, при естественном течении заболевания, у них была бы диагностирована спинальная мышечная атрофия 1 или 2 типа.

Последние результаты были официально представлены на ежегодной конференции Cure SMA в Анахайме, Калифорния (28 июня-1 июля 2019 г.) и на 5-м Конгрессе Европейской академии неврологии (EAN) в Осло, Норвегия (29 июня-2 июля 2019 г.).

Все участники исследования (на момент предоставления данных) живы, не нуждались в постоянной вентиляции легких и могли самостоятельно сидеть, в то время как при естественном течении заболевания ни один пациент со СМА 1 типа не смог бы этого сделать, а пациентам со СМА 2 типа понадобилась бы помощь. В целом, исследование показало, что лечение нусинерсеном хорошо переносится пациентами и не было получено каких-либо сомнений в безопасности терапии на протяжении четырёх лет применения этой терапии.

Так как исследование NURTURE на данный момент продолжается, следует отметить, что эти промежуточные результаты дополняют самое длительное исследование предсимптоматических детей со СМА. После 45,1 месяцев анализа и исследований, нусинерсен продолжает демонстрировать эффективность и безопасность по сравнению с естественным течением заболевания. Средний срок терапии составлял почти три года, при этом 88 процентов участников исследования приобрели навык ходьбы без поддержки, причем многие из них делали это в привычные сроки развития для младенцев. Как известно, при естественном течении заболевания пациенты со СМА 1 или 2 типа никогда не могут ходить самостоятельно. Эти новые данные показывают, что у пациентов, получавших нусинерсен, наблюдалось постоянное улучшение навыка сидения и ходьбы без поддержки, при этом подавляющее большинство пациентов приобретали данные моторные навыки в соответствующие нормам развития сроки.

Мы хотели бы поблагодарить все семьи пациентов со СМА, медицинский персонал и исследователей, которые продолжают помогать нам собирать эти важные данные и информацию. Мы также хотели бы поблагодарить «SMA Europe» за их постоянное сотрудничество.

Как команда, мы остаемся преданным партнером этого сообщества и будем доступны для предоставления дополнительных данных и обновлений по запросу.

С уважением,
Команда Biogen SMA