

Июнь 15, 2020

Уважаемое сообщество СМА,

В ответ на ваши вопросы сообщаем о новых результатах, полученных в рамках исследования NURTURE, являющегося на сегодня самым длительным исследованием применения лекарственной терапии у пресимптоматических пациентов со спинальной мышечной атрофией. Новые результаты были представлены на прошедшей виртуальной Конференции Cure SMA Research & Clinical Care Meeting 10-12 июня 2020 года.

Новые данные покрывают практически год дополнительного наблюдения и показывают, что пресимптоматически получившие лечение SPINRAZA® (nusinersen) продолжают демонстрировать продолжительный результат от лечения. Максимальный период наблюдения покрывает 4.8 лет продолжающегося лечения нусинерсеном, 100% детей (25 patients), начавших лечение до появления первых симптомов болезни, живы и не нуждаются в постоянной вентиляции легких. Пациенты продолжают сохранять и прогрессивно набирать новые двигательные навыки по сравнению с естественным течением заболевания (без лечения). 96% сейчас могут самостоятельно ходить с поддержкой.

Все дети, которые достигли способности ходить самостоятельно (многие в тот же самый временной период развития, что и здоровые дети) сохраняют эту функцию с момента, когда она впервые была достигнута на момент последнего визита в исследовательские центры.

Нусинерсен хорошо переносился участниками исследования, без каких-либо дополнительных побочных эффектов в течение этого дополнительного срока наблюдения. Ни один ребенок не вышел из исследования по причинам перенесенных побочных реакций на препарат.

Дополнительные результаты из промежуточного анализа на февраль 2020 года:

- Все участники исследования, кто ранее научился ходить с поддержкой (92%) и ходить самостоятельно (88%) сохранили эту возможность в течение более чем 11 месяцев с момента последнего среза данных, предшествующего текущему.¹
- В течении этого, более чем 11 месяцев дополнительного наблюдения, 1 ребенок достиг возможности ходить с поддержкой (повысив процент до 96% во всей группе участников) и также достиг максимальной оценки по шкале CHOP-INTEND, повысив общее количество участников исследования, кто достиг максимальной оценки по этой шкале до 21 из 25 (84%).
- Пациенты с 2 копиями гена SMN2 также показали возможность оценки их двигательных функций по шкале Хаммерсмит (Hammersmith Functional Motor Scale Expanded scale (HFMSE), что нетипично для пациентов с этой формой не получающих лечение.

NURTURE - продолжающееся исследование фазы 2, открытое исследование 25 пресимптоматических пациентов, с генетически подтвержденным диагнозом СМА (наиболее вероятно разовьется СМА 1 или 2 типа), которые получили первую дозу нусинерсен в возрасте до 6 недель после рождения. Протокол исследования был продлен на дополнительные 3 года, чтобы дать возможность Biogen оценить долгосрочную эффективность и безопасность нусинерсен в течение 8 лет и на основе полученных данных лучше понять значение раннего лечения. Больше информации об исследовании вы можете найти на clinicaltrials.gov. (номер исследования (NCT02386553)

Best Regards, Biogen Team

References: De Vivo DC, Bertini E, Swoboda KJ, et al. Nusinersen initiated in infants during the presymptomatic stage of spinal muscular atrophy: Interim efficacy and safety results from the Phase 2 NURTURE study. *Neuromuscul Disord.* 2019;29(11):842-856. doi:10.1016/j.nmd.2019.09.007.