

 Medexpress, 2020-07-10 09:13

Nowe dane dot. leku na SMA

Fot. Getty Images/iStockphoto

Nowe wyniki przełomowego badania NURTURE pokazują, że lek nusinersen podawany pacjentom z SMA przed wystąpieniem objawów przynosi trwałą poprawę.

- **Po 4,8 latach nieprzerwanej terapii nusinersenem przed wystąpieniem pierwszych objawów 100 procent dzieci pozostaje przy życiu i żadne nie wymaga ciągłego wspomagania oddychania.**
- **Pacjenci czują się coraz lepiej i czynią postępy w poprawie funkcji motorycznych w porównaniu z naturalnym przebiegiem choroby, a 96 procent z nich jest teraz w stanie samodzielnie chodzić.**

Nowe dane obejmują rok dodatkowej obserwacji uczestników badania NURTURE. Do lutego 2020 r. wszyscy pacjenci objęci leczeniem (n=25; średni wiek – 3,8 roku) pozostawali przy życiu i nie wymagali ciągłego wspomagania oddychania, podczas gdy większość nieleczonych dzieci z SMA typu 1 przeważnie nie dożywa drugich urodzin. Dzieci leczone, które osiągnęły odpowiedni stopień rozwoju motorycznego – umiejętność samodzielnego chodzenia (wiele z nich w podobnym wieku co ich rówieśnicy), zachowały ją aż do końca badania.

Wpływ wczesnie rozpoczętej i kontynuowanej terapii lekiem nusinersen na te niemowlęta i ich rodziny robi wrażenie. Miałam ten niezwykle zaszczyt, że mogłam obserwować, jak wyrastają na aktywne dzieci, z których wiele czyni takie same postępy w rozwoju motorycznym jak ich rówieśnicy bez SMA – powiedziała dr Kathryn Swoboda, szefowa katedry neurogenetyki ufundowanej przez Katherine B. Sims i dyrektor programu neurogenetycznego w Massachusetts General Hospital.

Nowe wyniki badania NURTURE potwierdzają nieustanne znaczące korzyści zarówno z szybkiej diagnozy, jak i wczesnie rozpoczętego i kontynuowanego przez dłuższy czas leczenia lekiem nusinersen – dodała dr Swoboda.

NURTURE to trwające, otwarte badanie II fazy, obejmujące 25 pacjentów przedobjawowych z genetycznie zdiagnozowanym SMA (którzy najprawdopodobniej zachorują na SMA typu 1 lub 2), a którym pierwszą dawkę nusinersenu podano przed 6. tygodniem życia. Badanie zostało wydłużone o kolejne 3 lata, co pozwoli na ocenę skuteczności i bezpieczeństwa leku przez 8 lat życia pacjentów oraz na rozszerzenie wiedzy na temat wczesnego rozpoczęcia terapii. Więcej informacji o badaniu NURTURE (NCT02386553) można znaleźć na stronie clinicaltrials.gov.

Dodatkowe wyniki ze zaktualizowanej analizy okresowej (luty 2020) potwierdzają, że:

- Wszyscy uczestnicy badania, którzy wcześniej byli w stanie chodzić ze wsparciem (92 procent) lub samodzielnie (88 procent), utrzymali tę zdolność przez kolejnych 11 miesięcy od ostatniej daty

odcięcia danych.

- W 11-miesięcznym okresie obserwacji jedno dziecko zyskało umiejętność chodzenia ze wsparciem, zwiększając odsetek takich uczestników do 96 procent, zwiększając tym samym maksymalny wynik w skali CHOP-INTEND (Children's Hospital of Pennsylvania Infant Test of Neuromuscular Disorders) oraz całkowitą liczbę uczestników badania, którzy osiągnęli maksymalny wynik, do 21 z ogólnej liczby 25 (84 procent).
- U pacjentów z dwoma kopiami genu SMN2 zaobserwowano stabilizację lub poprawę wyników na skali oceny czynności ruchowych (HFMSE – Hammersmith Functional Motor Scale Expanded), co jest nietypowe dla naturalnego przebiegu choroby.
- Nusinersen jest dobrze tolerowany i w czasie całego okresu rozszerzonej obserwacji nie odnotowano żadnych nowych doniesień co do jego bezpieczeństwa. Żadne z dzieci nie przerwało uczestnictwa w badaniu z powodu działań niepożądanych związanych z leczeniem.

WARTO PRZECZYTAĆ



[Każdy ma swoje Kilimandżaro](#)

Źródło: mat. prasowe