

ПРИМЕНЕНИЕ ПРЕПАРАТА СПИНРАЗА У ПАЦИЕНТОВ С ПРЕДСИМПТОМАТИЧЕСКИМ НАЧАЛОМ СМА

ДОСТИГАЯ МАКСИМАЛЬНЫХ ВОЗМОЖНОСТЕЙ ТЕРАПИИ



Камген
4 года*

Предсимптоматическое
начало СМА

Получает лечение
препаратом Спинраза
с 2015 г.

ПОКАЗАНИЯ К ПРИМЕНЕНИЮ

Препарат Спинраза показан для лечения
спинальной мышечной атрофии (СМА)².

*возраст на момент съемки

CP-238661

- Открытое исследование с участием пациентов с генетически диагностированной СМА до начала первых проявлений (2 копии гена SMN2, n=15; 3 копии гена SMN2, n=10), включенных в исследование в возрасте 6 недель или младше
- У пациентов в этом исследовании было наиболее вероятно развитие СМА I или II типа
- Медиана возраста на момент введения первой дозы составила 22 дня
- Первичная конечная точка: Время выживания или время до применения респираторной поддержки (инвазивная или неинвазивная искусственная вентиляция легких ≥ 6 ч/сут в течение ≥ 7 дней подряд или трахеостомия)

Скриннинг

Лечение в открытом режиме



≤21 дней скриннинг



D=день; ITT=выборка в соответствии с назначенным лечением; ПВПП=последний визит последнего пациента. * Выборка ITT и выборка для оценки безопасности: пациенты, прошедшие рандомизацию и получившие ≥ 1 дозы исследуемого препарата. ¹ Рандомизация проводилась со стратификацией по продолжительности заболевания на момент скрининга (возраст на момент скрининга – возраст на момент появления первых симптомов): ≤ 12 недель и >12 недель. ** Запланированный промежуточный анализ был проведен в октябре 2016 г.



**Камген
4 года***

Предсимптоматическое начало СМА
Получает лечение препаратом
Спинраза с 2015 г.

При терапии на предсимптоматической стадии СПИНРАЗА позволяет пациентам со СМА достичь развития моторных навыков, сравнимых со здоровыми детьми¹

Промежуточный анализ (февраль 2020 г.): медиана возраста на момент последнего визита: 3,8 (диапазон 2,8-4,8) года.¹

НАВЫКИ	3 копии SMN2	2 копии SMN2
Сидеть самостоятельно	10/10 (100%)	15/15 (100%)
Стоять с поддержкой	10/10 (100%)	15/15 (100%)
Ползать	10/10 (100%)	14/15 (93%)
Ходить с поддержкой	10/10 (100%)	14/15 (93%)
Стоять самостоятельно	10/10 (100%)	12/15 (80%)
Ходить самостоятельно	10/10 (100%)	12/15 (80%)



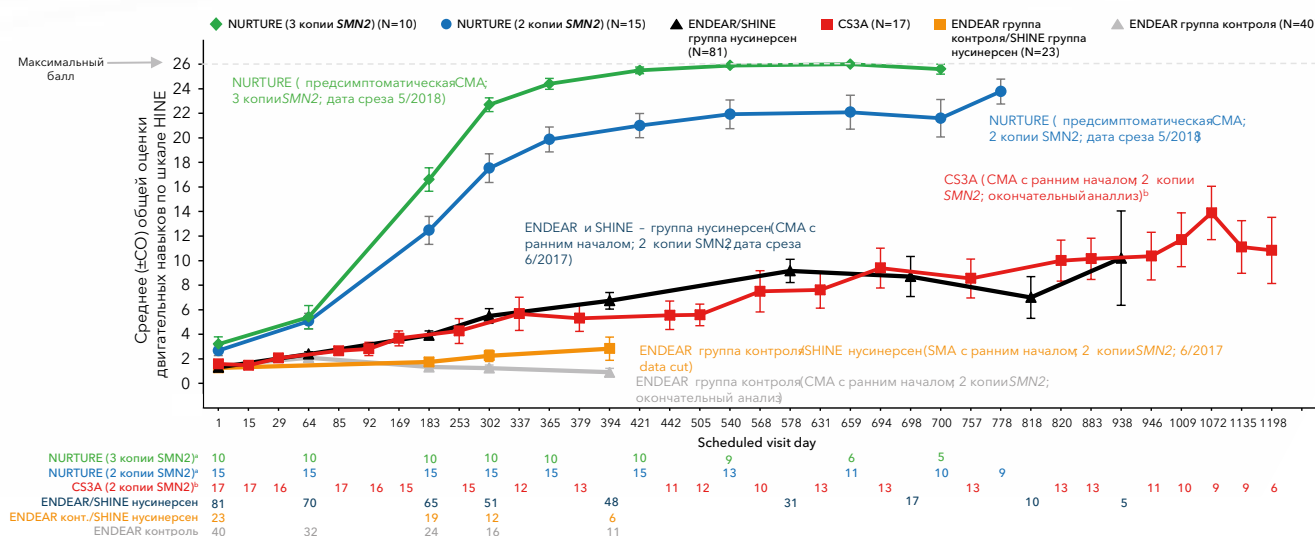
**Живы и не нуждаются
в перманентной
вентиляции легких**

100%
25 из 25
пациентов

Применение Спинразы на предсимптоматической стадии СМА демонстрирует максимальные возможности патогенетической терапии¹

- Пациенты с генетически диагностированной СМА до начала первых проявлений получали препарат СПИНРАЗА и достигали контрольных точек двигательного развития в соответствии с возрастной нормой к моменту запланированного промежуточного анализа¹

Динамика контрольных точек двигательного развития по шкале HINE в исследованиях NURTURE, ENDEAR и CS3a¹



Выборки, показанные на графике:

NURTURE – выборка для промежуточного анализа эффективности;

CS3a (II фаза) – все пациенты, получавшие препарат; **ENDEAR** – выборка для анализа эффективности.

Для каждого исследования, визиты с n<5 не включены в график.



Пациенты, получавшие препарат СПИНРАЗА на предсимптоматической стадии, достигали тех контрольных точек двигательного развития, которые обычно не достигаются при СМА I и II типа и которые соответствуют нормальному развитию.¹

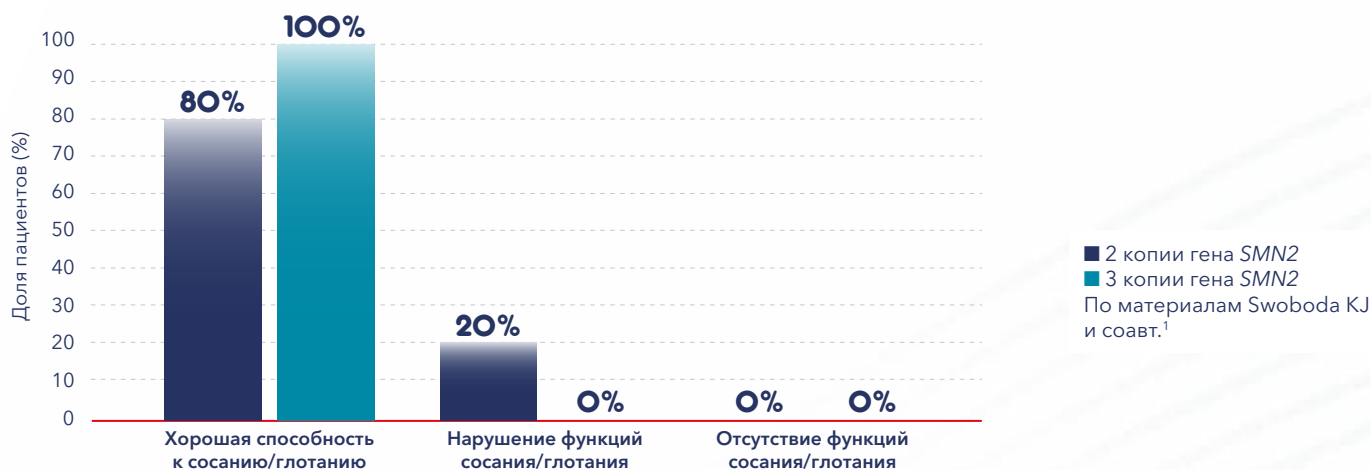


Спинраза дает возможность сохранения и развития навыков сосания и глотания у детей со СМА

Оценка функций сосания и глотания (по шкале HINE-1) до дня 778*1

После 778 дней в исследовании NURTURE:

- У 22/25 (88%) младенцев была достигнута максимальная оценка функции глотания¹
- 10/10 (100%) младенцев с тремя копиями гена *SMN2* были способны глотать нормально¹
- У 13/15 (80%) младенцев с двумя копиями гена *SMN2* наблюдалась хорошая способность к сосанию и глотанию¹



* Дата окончания сбора данных для промежуточного анализа исследования NURTURE: 19 февраля 2020 г. Оценку по шкале HINE-1 проводили до дня 778. Сосательную и глотательную функцию оценивали по шкале HINE-1, описанной Naataja и соавт.⁵ Оценка 3 указывает на хорошие функции сосания и глотания, оценка 1 или 2 указывает на нарушение функций сосания и/или глотания, а оценка 0 – на отсутствие сосательного рефлекса и глотания.² HINE-1 – шкала Королевской больницы Хаммерсмит для оценки неврологического статуса у детей раннего возраста, раздел 1.

¹ Swoboda KJ, et al; NURTURE Study Group Nusinersen Effect in Infants Who Initiate Treatment in a Presymptomatic: Stage of SMA: NURTURE Results. Presented at CureSMA clinical conference 2020, USA.



Доказанная безопасность применения препарата Спинраза

- Люмбальная пункция в целом хорошо переносилась пациентами¹
- Большинство нежелательных явлений были легкой или средней степени тяжести¹
- Отсутствовали клинически значимые изменения, связанные с применением препарата СПИНРАЗА®, со стороны показателей клинического анализа крови биохимического анализа крови, общего анализа мочи, коагулограммы, лабораторных показателей жизненно важных функций или ЭКГ¹

Нежелательное явление	n (%)
Любое нежелательное явление	25 (100)
Серьезные нежелательные явления	12 (48)
Нежелательные явления тяжелой степени	6 (24)
Нежелательные явления, связанные с применением исследуемого препарата*	0
Серьезные нежелательные явления, связанные с применением исследуемого препарата*	0
НЯ, приведшие к досрочному прекращению лечения или исключению из исследования	0
Нежелательные явления, возможно связанные с применением исследуемого препарата ¹	11(44)
Протеинурия	2 (8)
Повышение активности щелочной фосфатазы и уровня кальция	1 (4)
Мышечная слабость и трудности при весовой нагрузке, разгибательный подошвенный рефлекс, клонус	1 (4)
Гиперрефлексия и тахикардия	1 (4)
Лихорадка, повышение активности АЛТ, повышение активности АСТ, повышение уровня эозинофилов, лимфоцитов и лейкоцитов	1 (4)
Снижение количества тромбоцитов	1 (4)
Сыпь	1 (4)
Аллергический дерматит	1 (4)
Нарушение походки, мышечная слабость, арефлексия, снижение объема движений в суставах	1 (4)
Мышечная слабость	1 (4)

Дата проведения промежуточного анализа: 19 февраля 2020 г.

* По оценке исследователя. ¹ По оценке исследователя. Нежелательные явления, возможно связанные с применением исследуемого препарата, разрешились, несмотря на продолжение лечения, за исключением мышечной слабости у двух участников, а также протеинурии, клонуса и арефлексии (по одному участнику на каждое из явлений).

АЛТ – аланинаминотрансфераза; АСТ – аспартатаминотрансфераза; ЭКГ – электрокардиограмма; WBC – лейкоциты.

Камген
4 года*

Предсимптоматическое
начало СМА

Получает лечение препаратом
Спинразы с 2015 г.



**МАКСИМАЛЬНАЯ
ЭФФЕКТИВНОСТЬ
ТЕРАПИИ
БЛАГОДАРЯ
ТАРГЕТНОЙ
ДОСТАВКЕ
СПИНРАЗЫ
К МИШЕНИ
ЗАБОЛЕВАНИЯ**

Узнайте больше о СМА и препарате
Спинразы на **Janssen Medical Cloud**



www.JanssenMedicalCloud.ru



Краткая инструкция по применению лекарственного препарата: **СПИПРАЗА (НУСИПЕРСЕН), раствор для интратекального введения, 2,4 мг/мл (12 мг/5 мл)**

Регистрационный номер: ЛП-005730. **Торговое наименование:** Спинраза. **МНН:** нусинерсен. **Лекарственная форма:** раствор для интратекального введения. **Фармакотерапевтическая группа:** Прочие препараты для лечения заболеваний костно-мышечной системы. **Показания к применению:** Препарат Спинраза показан для лечения спинальной мышечной атрофии (СМА). **Противопоказания:** Гиперчувствительность к действующему или любому из вспомогательных веществ. **Меры предосторожности при применении:** Процедура люмбальной пункции сопровождается риском возникновения нежелательных реакций, таких как, головная боль, боль в спине, рвота. Могут быть использованы визуализационные техники для облегчения интратекального введения препарата Спинраза пациентам со сколиозом. При наличии клинических показаний, рекомендовано выполнять лабораторные тесты для определения количества тромбоцитов и показателей свертываемости крови перед введением препарата Спинраза. При наличии клинических показаний, рекомендовано выполнять количественное определение белка в моче (предпочтительно в первой утренней порции мочи). Преимущества и риски лечения нусинерсеном пациентов с вентрикулоперитонеальным шунтом в настоящее время неизвестны. **Способ применения и дозы:** Препарат Спинраза предназначен для интратекального введения. Рекомендованная доза составляет 12 мг (5 мл). Следует начинать терапию препаратом Спинраза как можно раньше после постановки диагноза. **Режим введения:** в первый день лечения (день 0), в день 14, 28, 63. Далее дозу следует вводить 1 раз в 4 месяца. В случае задержки или пропуска введения дозы препарат Спинраза следует ввести как можно ранее, при этом интервал между дозами должен быть не менее 14 дней; далее следует продолжить введения с назначенной частотой. **Инструкции по приготовлению и введению дозы:** Необходимо визуально оценить состояние раствора до использования. Использовать можно только прозрачные и бесцветные растворы, не содержащие никаких частиц. Использовать внешние фильтры не требуется. Приготовление и введение препарата Спинраза должны осуществляться в асептических условиях. Перед введением флакон следует достать из холодильника и согреть до комнатной температуры, не прибегая к внешним источникам тепла. Если флакон не был открыт и раствор не использовался, флакон может быть возвращен в холодильник. После извлечения из холодильника и картонной пачки флакон может храниться при температуре не выше 25 °С в течение не более 30 ч. Непосредственно перед введением, центр пробки флакона протыкают иглой шприца и извлекают требуемый объем раствора. Раствор не следует разводить. В случае, если раствор не использовался в течение 6 ч после его набора в шприц, раствор следует утилизировать. Для введения препарата Спинраза может потребоваться седация, если это показано на основании клинического состояния пациента. Можно рассмотреть вопрос о применении ультразвукового (или иного визуализационного) контроля при интратекальном введении препарата Спинраза, в особенности в более ранних возрастных группах и у пациентов со сколиозом. Перед введением препарата Спинраза рекомендуется извлечь объем ЦСЖ, эквивалентный вводимому объему препарата Спинраза. Препарат Спинраза вводится интратекально болюсно на протяжении 1–3 минут с помощью иглы для спинальной анестезии. Не допускается проводить инъекцию в тех участках кожи, где имеются признаки инфекционного или воспалительного процесса. Любое неиспользованное содержимое флакона следует утилизировать. **Побочное действие.** Нежелательные реакции, связанные с люмбальной пункцией, зарегистрированные в исследовании CS4 (поздняя манифестация СМА), наблюдавшиеся с частотой как минимум на 5% выше у пациентов, получавших препарат Спинраза, по сравнению с пациентами из контрольной группы, получавшими плацебо: головная боль, рвота, боль в спине. В пострегистрационном периоде наблюдались серьезные инфекции, например, менингит. Имелись сообщения о случаях гидроцефалии, асептического менингита и гиперчувствительности (например, ангионевротический отек, крапивница и сыпь). Частота возникновения подобных реакций неизвестна. **Условия хранения:** При температуре 2–8 °С в оригинальной упаковке (флакон в пачке) для защиты от света. Не замораживать. Допускается хранение в оригинальной упаковке (флакон в пачке) при температуре не выше 30 °С в течение не более 14 дней. В случае неиспользования в течение этих 14 дней повторное хранение при температуре 2–8 °С не допускается. Хранить в недоступном для детей месте. **Срок годности:** 3 года. **Условия отпуска:** Отпускают по рецепту. **Держатель (владелец) регистрационного удостоверения:** Биоген Айдек Лимитед, Великобритания. **Организация, уполномоченная держателем (владельцем) РУ принимать сведения о рекламациях, нежелательных лекарственных реакциях и предоставлять потребителям дополнительные данные о препарате:** ООО «Джонсон & Джонсон», Россия, 121614, г. Москва, ул. Крылатская, д. 17 корп. 2. тел. +7 (495) 755-83-57 факс: +7 (495) 755-83-58



Список литературы

1. Swoboda KJ, et al; NURTURE Study Group. Nusinersen Effect in Infants Who Initiate Treatment in a Presymptomatic Stage of SMA: NURTURE Results. Presented at CureSMA clinical conference 2020, USA.
2. Инструкция по медицинскому применению лекарственного препарата Спинраза (МНН: нусинерсен), раствор для интратекального введения, ЛП-005730 от 03.06.2021.

Камген
4 года*

Предсимптоматическое
начало СМА

Получает лечение препаратом
Спинраза с 2015 г.

ООО «Джонсон & Джонсон»
Россия, 121614, Москва, ул. Крылатская, д. 17, корп. 2
Контактные телефоны: тел.: (495) 755-83-57, факс: (495) 755-83-58
Инструкция по медицинскому применению лекарственного препарата
Спинраза (МНН: нусинерсен), раствор для интратекального введения,
ЛП-005730 от 03.06.2021

Материал предназначен для медицинских
и фармацевтических работников

Дата подготовки материала – сентябрь 2021

CP-238661

janssen
PHARMACEUTICAL COMPANIES
OF **Johnson & Johnson**