



Dados recentes, recolhidos da prática clínica com doentes ADULTOS com SMA, corroboram o benefício clínico de SPINRAZA³

Foi recentemente publicado o manuscrito completo *Nusinersen in adults with 5q spinal muscular atrophy: a non-interventional, multicentre, observational cohort study*, na revista *The Lancet Neurology*.

Este estudo observacional prospetivo, realizado em 10 centros, é o maior estudo sobre a eficácia e segurança de SPINRAZA, realizado na mais diversa população de doentes adultos que foi estudada até à data.

«Em linha com um estudo observacional anterior, observaram-se indícios crescentes da eficácia de nusinersen em doentes adultos com atrofia muscular espinhal 5q, numa medida semelhante à demonstrada para bebés e crianças em ensaios clínicos aleatorizados, sugerindo que a idade poderá não ser um preditor da eficácia do tratamento na atrofia muscular espinhal.» - Hagenacker et al. 2020.

THE LANCET
Neurology



Os resultados demonstram que a maioria dos adultos tratados com SPINRAZA alcançaram uma melhoria ou estabilização consideradas clinicamente significativas nos principais parâmetros da função motora em SMA*, e que estes resultados foram mantidos ao longo do tempo.

Desenho do Estudo:

Um estudo observacional, prospetivo e multicêntrico em doentes com idades compreendidas entre os 16 e 65 anos com atrofia muscular espinhal 5q, conduzido em 10 centros clínicos académicos na Alemanha, com os seguintes doentes incluídos na análise dos 6, 10 e 14 meses para o *endpoint* primário:

- 124 doentes foram incluídos na análise dos 6 meses;
- 92 foram incluídos na análise dos 10 meses;
- 57 foram incluídos na análise dos 14 meses

Perfil dos doentes:

- Doentes com SMA tipos 1 a 4 com idades compreendidas entre os 16 e 65 anos
- Espetro clínico abrangente, seguidos por um período até 14 meses

Resultados:

- **A pontuação média na escala HFMSE*** revelou um aumento estatisticamente significativo aos 6, 10 e 14 meses, com um aumento de 3,12 pontos aos 14 meses (n=57)
 - A história natural disponível mostra uma redução acentuada de 0,5-1 pontos por ano na escala HFMSE
- **A pontuação média na escala RULM*** revelou um aumento estatisticamente significativo de pontos aos 14 meses (n=58)
- **A distância média percorrida no teste 6MWT*** revelou um aumento estatisticamente significativo de 46.0 metros aos 14 meses (n=25)
- **O perfil de segurança de SPINRAZA** foi consistente com o perfil observado em ensaios clínicos anteriores com SPINRAZA; não foram notificados novos acontecimentos adversos graves.

Os resultados deste estudo corroboram os benefícios do tratamento com SPINRAZA ao nível da função motora numa população heterogénea de adolescentes e adultos com SMA, e inclusivamente sugerem que alguns subgrupos poderão beneficiar mais do tratamento do que outros, dependendo do tipo de SMA e do estado funcional no início do tratamento.



Caso pretenda receber esta publicação por favor faça o seu pedido através do Serviço de Informação Médica carregando [aqui](#)

*SMA: Spinal Muscular Atrophy; HFSME: Escala Motora Funcional de Hammersmith Expandida; RULM: Escala Motora Revista para os Membros Superiores; 6MWT: Teste dos 6 minutos de marcha

Referências

1. EMA Press Release. Disponível em: <https://www.ema.europa.eu/en/news/first-medicine-spinal-muscular-atrophy>. Consultado: junho 2020.
2. Resumo das Características do Medicamento (RCM) Spinraza®(nusinersen) – disponível para consulta em: https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/spinraza-epar-product-information_pt.pdf
3. Hagenacker T, et al. Nusinersen in adults with 5q spinal muscular atrophy: a non-interventional, multicentre, observational cohort study. *Lancet Neurology* 2020;19:317-25.

Resumo das Características do medicamento

Spinraza® ▼ (nusinersen) 12 mg solução injetável

▼ Este medicamento está sujeito a monitorização adicional. Isto irá permitir a rápida identificação de nova informação de segurança. Pede-se aos representantes de saúde que notifiquem quaisquer suspeitas de reações adversas. Para consultar o RCM completo e mais recente clique [aqui](#).

Spinraza é um medicamento de receita médica restrita, de utilização reservada a certos meios especializados. Para mais informações deverá contactar o representante local do titular de autorização no mercado. O RCM de Spinraza está disponível para consulta através das hiperligações acima.

© 2020 Biogen Portugal Sociedade Farmacêutica Unipessoal, Lda

Av. Duque de Ávila, 141 - 7º 1050-081 Lisboa | NIF 506415740

Biogen-67192 | Julho 2020

