

Stanovisko výboru Neuromuskulární sekce České neurologické společnosti ČLS JEP k léčbě spinální svalové atrofie nusinersenem (Spinraza) u dospělých pacientů.

Preparát nusinersen byl zaregistrovaný Evropskou lékovou agenturou (EMA) ke dni 30.5.2017 pro léčbu spinální svalové atrofie (5q SMA).

Registraci preparátuschválila EMA na základě informací z proběhlých klinických studií ENDEAR, CHERISH a NURTURE. Tyto studie hodnotily efekt léčby nusinersenem pouze u dětí s SMA I-III ve věku mladším než 12 let (studie ENDEAR pro SMA I – děti mladší 7 měsíců, studie CHERISH SMA II a III – děti mladší 12 let a studie NURTURE - novorozenci mladší než 6 týdnů s rizikem rozvoje SMA).

V průběhu r. 2018 zahájily léčbu pacientů starších 18 let některé země EU (např. Itálie, Německo, Francie). V současné době jsou k dispozici ojedinělá kazuistická sdělení v počtech < 20 případů. Spolehlivá data v rámci medicíny založené na důkazech (EBM), která by potvrdila efekt léčby nusinersenem u dospělých SMA pacientů ve věku nad 18 let, stále k dispozici nejsou. Dosud nebyly k dispozici ani spolehlivé informace o možnosti objektivizace efektu léčby u dospělých pacientů. V zemích, kde je léčba podávána u pacientů > 12 let, jsou pro tento účel využívány vybrané klinimetrické nástroje (škály nebo skóre - HSMSE, RULM, 6WT), užívané v této indikaci u pacientů mladších věkových skupin. Tento přístup tak umožní zhodnocení využitelnosti těchto dotazníků u dospělých pacientů.

Výbor Neuromuskulární sekce ČNS ČLS JEP souhlasí s tím, aby léčba nusinersenem byla SMA pacientům >18 let zabezpečena v neuromuskulárních centrech v ČR tehdy, pokud pacientovi bude schválena úhrada léčby příslušnou zdravotní pojišťovnou nebo bude předán z dětské části neuromuskulárního centra k pokračování léčby. Zahájení léčby nusinersenem u SMA pacientů >18 let na základě konsensuálně stanovených kritérií pro indikaci a sledování účinnosti léčby závisí na splnění podmínky, že výrobce nusinersenu (firma Biogen) uveřejní přesvědčivá data (EBM), která prokáží efekt léčby nusinersenem u pacientů s SMA starších 18 let. Do splnění této podmínky výbor Neuromuskulární sekce ČNS zahájení léčby SMA nusinersenem u pacientů >18 let nadále nedoporučuje.

V souvislosti s nutností zajištění podmínek pro zvažovanou aplikaci této specifické léčby upozorňuje výbor Neuromuskulární sekce ČNS ČLS JEP, že převzetí dospělých pacientů s SMA k léčbě nusinersenem vyžaduje nadstandardní diagnostické a léčebné postupy a jejich administrativní náročnost ve specializovaných centrech. I přes existující síť neuromuskulárních center v ČR, konstituovaných na základě iniciativy Neuromuskulární sekce ČNS ČLS JEP, a přes fakt, že dvě z těchto center byla zařazena do celoevropské sítě center pro vzácná onemocnění (European Reference Networks for Rare and Low Prevalence Complex Diseases – FN Motol a FN Brno), nebyla tato centra zatím ze strany MZ ČR vyhlášena jako centra vysoce specializované péče a ze strany plátců péče v ČR nebyly vytvořeny odpovídající personální a materiální podmínky pro poskytování zmíněné vysoce specializované péče.

Stanovisko bylo schváleno výborem ČNS ČLS JEP dne 13.5.2019