**Neuromuskulární sekce ČNS ČLS JEP**

**Stanovisko k léčbě spinální svalové atrofie preparátem nusinersenem u dospělých pacientů.**

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

Registraci preparátu schválila EMA na základě informací z proběhlých klinických studií ENDEAR, CHERISH a NURTURE. Tyto studie hodnotily efekt léčby nusinersenem pouze u dětí se 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 současné době nejsou k dispozici žádná spolehlivá data v rámci mediciny založené na důkazech (evidence based medicine, EBM), která by potvrdila efekt léčby nusinersenem u dospělých SMA pacientů ve věku nad 18 let. Rovněž nejsou k dispozici klinimetrické nástroje (škály nebo skóre), které by umožnily spolehlivě hodnotit účinnost léčby, jako je tomu u dětských SMA pacientů ve věku <12 let.

Navrhujeme Výboru České neurologické společnosti, aby se léčba nusinersenem zahájila u dospělých pacientů se SMA teprve v okamžiku, kdy výrobce nusinersenu (firma Biogen), uveřejní přesvědčivá data (EBM), která prokáží efekt léčby nusinersenem u pacientů se SMA starších 18 let a doporučí relevantní klinimetrické testy ke sledování účinnosti léčby.