

## **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 preparátu schválila 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 12 let a mladším (studie ENDEAR pro SMA I – děti mladší 8 měsíců, studie CHERISH pro SMA II a III – děti 12 let a mladší a studie NURTURE - novorozenci mladší než 7 týdnů s rizikem rozvoje SMA).

V průběhu r. 2018 zahájily léčbu dospělých pacientů 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, 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 dospělým pacientům 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, a to na základě konsensuálně stanovených kritérií pro indikaci a sledování účinnosti léčby založených na poznacích o dosavadní léčbě těchto pacientů v okolních zemích.

V souvislosti se zajištěním podmínek pro zvažovanou aplikaci této specifické léčby upozorňuje výbor Neuromuskulární sekce ČNS ČLS JEP, že převzetí dospělých SMA pacientů k léčbě

nusinersenem vyžaduje nadstandardní diagnostické a léčebné postupy, které s sebou nesou významný nárůst zdravotnické, ošetrovatelské a administrativní zátěže. I přes existující síť neuromuskulárních center v ČR, konstituovaných na základě iniciativy Neuromuskulární sekce ČNS ČLS JEP, a přes skutečnost, že dvě z těchto center (FN Motol a FN Brno) byla zařazena do celoevropské sítě center pro vzácná onemocnění (European Reference Networks for Rare and Low Prevalence Complex Diseases), 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 6.12.2019