

SPINRAZA – nachgewiesene Wirksamkeit und Erfahrung bei allen Typen der Spinalen Muskelatrophie

Die Spinale Muskelatrophie (SMA) ist eine seltene genetische neuromuskuläre Erkrankung. Sie betrifft den Teil des Nervensystems, der die willkürliche Muskelbewegung kontrolliert.

2017 wurde SPINRAZA® (Nusinersen), zur Behandlung der SMA – unabhängig vom Alter oder SMA-Typ – der Firma Biogen zugelassen.^{1,2} Eine frühe Behandlung kann einen irreversiblen Verlust von motorischen Funktionen verhindern und kann für PatientInnen einen lebenslangen Unterschied machen.

Klares Ziel der Behandlung mit SPINRAZA® ist es, dem natürlichen Krankheitsverlauf entgegenzuwirken.^{3,4}

- ✓ Gezielte Gabe am Wirkort, wodurch das Risiko von Nebenwirkungen im gesamten Körper (systemisch) verringert werden kann.
- ✓ Nachgewiesene Wirksamkeit in umfangreichen klinischen Studien.
- ✓ Dokumentiertes Sicherheitsprofil für alle SMA-Typen.
- ✓ Weitreichende Erfahrung mit SPINRAZA® im klinischen Alltag und mit unterschiedlichen Altersgruppen.^{5,6,7,8,9,10}

Sie finden für sich und Ihre PatientInnen wertvolle Informationen zum Thema SMA, erhalten Einblicke in Erfahrungen und praktische Tipps auf care.togetherinsma.at. Ebenso geben Betroffene mit berührenden Geschichten Einblick in ihr Leben und zeigen was es braucht, um mutig in die Zukunft zu blicken.

¹ EMA Press Release. Available at: https://www.ema.europa.eu/en/documents/press-release/first-medicine-spinal-muscular-atrophy_en.pdf. Accessed: Sep 2021.

² Aartsma-Rus A. FDA Approval of Nusinersen for Spinal Muscular Atrophy Makes 2016 the Year of Splice Modulating Oligonucleotides. *Nucleic Acid Ther.* 2017;27:67-9.

³ Wadman RI, et al. Muscle strength and motor function throughout life in a cross-sectional cohort of 180 patients with spinal muscular atrophy types 1c-4. *Eur J Neurol.* 2018 Mar;25(3):512-8.

⁴ Serra-Juhe C, et al. Perspectives in genetic counseling for spinal muscular atrophy in the new therapeutic era: early pre-symptomatic intervention and test in minors. *Eur J Hum Genet.* 2019;27:1774-82.

⁵ SPINRAZA® Fachinformation. Stand der Information 08.2019.

⁶ CHERISH Study Record. <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02292537>. Accessed Sep 2021.

⁷ NURTURE Study Record. <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02386553>. Accessed Sep 2021.

⁸ Walter MC, et al. Safety and Treatment Effects of Nusinersen in Longstanding Adult 5q-SMA Type 3 - A Prospective Observational Study. *J Neuromuscul Dis.* 2019;6:453-65.

⁹ Hagenacker T, et al. Nusinersen in adults with 5q spinal muscular atrophy: a non-interventional, multicentre, observational cohort study. *Lancet Neurol.* 2020;19(4):317-25.

¹⁰ Osmanovic A, et al. Treatment expectations and patient-reported outcomes of nusinersen therapy in adult spinal muscular atrophy. *J Neurol.* 2020;267(8):2398-407.