

Empfehlungen zur Verlaufsbeobachtung von Patienten mit SMA

Reguläre Patientenvisiten mit aktueller Anamnese, klinischer Untersuchung inkl. motorischen Meilensteinen (WHO)

- Alle Typen der SMA: 6-monatlich
- SMA Typ 1 Patienten unter 2 Jahren: 3-monatlich
- Unter Therapie mit Nusinersen nach Eindosierungsphase: 4-monatlich

Physiotherapeutische Evaluation (6- bzw. 4-monatlich)

SMA Typ 1:

- CHOP-Intend
- HFMSE (falls CHOP-Intend >50 Punkte)

SMA Typ 2/3:

- HFMSE
- RULM
- Bei Gehfähigkeit: 6-Minuten-Gehtest

Optional bei erwachsenen Patienten:

- ALS Functional Rating Scale

Lungenfunktion

- Bei ausreichender Kooperation des Patienten 6-monatlich

Die Auswahl der Zielparameter erfolgt im internationalen Konsens mit TREAT-NMD.

SMARTCARE Lenkungsgremium

Prof. Dr. Günther Bernert
Prof. Dr. Hanns Lochmüller
Prof. Dr. Jan Kirschner
Prof. Dr. Ulrike Schara
Dr. Inge Schwersenz (Patientenvertretung)
Prof. Dr. Maggie Walter

Ansprechpartner

Prof. Dr. Jan Kirschner
Projektleiter

Dr. Astrid Pechmann
Ärztliche Ansprechpartnerin

Dr. Kristina Schachtrup
Studienkoordination

Sabine Stein und Sibylle Vogt
Physiotherapie
SMARTCARE-physio@uniklinik-freiburg.de

Universitätsklinikum Freiburg
Mathildenstrasse 1, 79106 Freiburg
SMARTCARE@uniklinik-freiburg.de
www.smartcare.de



Verlaufsbeobachtung und Therapieevaluation bei Spinaler Muskelatrophie

Datensammlung aller Patienten mit SMA im deutschsprachigen Raum

Jeder Teilnehmer zählt!



Die SMARTCARE Initiative



Für klinisch tätige Ärzte sowie für betroffene Patienten ist es enorm wichtig, weitere Informationen zum natürlichen Krankheitsverlauf und zu möglichen Behandlungseffekten medikamentöser Therapien bei der Spinalen Muskelatrophie (SMA) systematisch zu sammeln.

Ziel der **SMARTCARE** Initiative ist die Etablierung einer online Datenbank zur Erfassung möglichst aller Daten von Patienten mit SMA, die im Rahmen der klinischen Routine erhoben werden. Um eine systematische Datensammlung zu erreichen haben wir gemeinsam mit Neuropädiatern, Neurologen und Patientenorganisationen Empfehlungen zur Verlaufsbeobachtung von Patienten mit SMA erarbeitet.

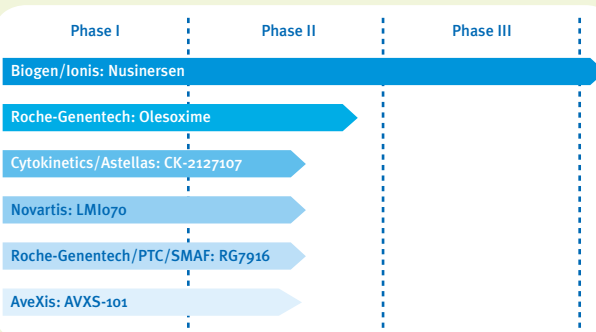
In Deutschland gibt es bereits seit vielen Jahren ein Register für Patienten mit Spinaler Muskelatrophie, in dem sich Patienten bzw. Familien selber anmelden können. Bitte weisen Sie Ihre Patienten auf diese Möglichkeit hin (www.sma-register.de). Die **SMARTCARE** Initiative soll als Ergänzung zu diesem bereits existierenden Register fungieren.

Neue Entwicklungen bei der SMA Therapie

Neue therapeutische Möglichkeiten zur Behandlung von Patienten mit SMA bringen neue Herausforderungen.

Nusinersen wurde als erstes Medikament zur Behandlung der SMA zugelassen. Andere Wirkstoffe befinden sich in der klinischen Entwicklung. Die Zulassung von Nusinersen beruht auf klinischen Studien im Kindesalter, sodass es bisher kaum Erfahrungen zur Wirksamkeit außerhalb dieser Population sowie über einen längeren Beobachtungszeitraum gibt.

Aktuelle klinische Studien zu weiteren medikamentösen Therapiemöglichkeiten für Patienten mit SMA



Für weitere Informationen: Pechmann A, Kirschner J. Diagnosis and New Treatment Avenues in Spinal Muscular Atrophy. *Neuropediatrics*. 2017;48(4):273-281

Systematische Datenerfassung aller Patienten mit SMA

Ziel der **SMARTCARE** Initiative ist eine möglichst vollständige Datensammlung aller Patienten mit SMA im deutschsprachigen Raum.

Wenn Sie als Behandlungszentrum Interesse haben, sich an der Datensammlung zu beteiligen, nehmen Sie bitte mit uns Kontakt auf:

SMARTCARE@uniklinik-freiburg.de

Wir senden Ihnen gerne weitere Informationen sowie die detaillierten Empfehlungen zur Verlaufsbeobachtung von Patienten mit SMA zu. Eine Vergütung bzw. Unterstützung für den Dokumentationsaufwand ist für alle Zentren, die sich an der Datensammlung beteiligen, vorgesehen.



Wer unterstützt SMARTCARE

Die **SMARTCARE** Initiative wird von der Firma Biogen unterstützt. Die Datensammlung und -auswertung erfolgt jedoch unabhängig von pharmazeutischen Unternehmen. In Zukunft ist auch eine weitere Unterstützung durch andere Firmen oder öffentliche Förderer möglich.