

Anmodning om vurdering av legemiddel i Nye metoder

Skjema for leverandører

En leverandør som ønsker offentlig finansiering av et legemiddel/legemiddelindikasjon i den norske spesialisthelsetjenesten, skal anmode om vurdering i Nye metoder ved å fylle ut dette skjemaet.

Utfyllt anmodningsskjema sendes til Nye metoder: nyemetoder@helse-sorost.no

Leverandøren skal på anmodningstidspunktet både ha et forslag til type helseøkonomisk analyse og en plan for når de leverer dokumentasjonen. Merk at dokumentasjon i henhold til oppdraget fra Bestillerforum for nye metoder må leveres inn senest 12 måneder etter anmodningstidspunktet.

Hele anmodningsskjemaet skal fylles ut. Mer informasjon og veiledning finnes i artikkelen [For leverandører \(nyemetoder.no\)](https://nyemetoder.no)

Merk: Skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no.

Innsender er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (må krysses av): ☒

Fyll ut dato for innsending av skjema: 12.09.2025

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Biogen Norway AS
1.2 Navn kontaktperson	Morten Tangnes
1.3 Stilling kontaktperson	Administrerende direktør, Biogen Norden og Baltikum
1.4 Telefon	+4723400141
1.5 E-post	morten.tangnes@biogen.com
Ekstern representasjon - vedlegg fullmakt	
1.6 Navn/virksomhet	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
1.7 Telefon og e-post	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

2 Legemiddelinformasjon og indikasjon	
2.1 Hva gjelder anmodningen? <i>Kryss av for hva anmodningen gjelder</i>	Et nytt virkestoff ☐ En indikasjonsutvidelse / ny indikasjon ☒ En ny styrke eller formulering ☐
2.2 Hvilken indikasjon gjelder anmodningen?	Anmodning om vurdering av behandling med nusinersen til SMA-pasienter med suboptimal klinisk respons på genterapi (onasemnogene abeparvovec, Zolgensma).

<i>Indikasjonen skal oppgis på norsk. Hvis prosess for godkjenning pågår, oppgi også indikasjon på engelsk.</i> <i>Merk: Leverandør skal anmode om vurdering av hele indikasjonen som de har fått godkjent eller søker om godkjenning for. Dersom leverandør foreslår en avgrensning til undergrupper, må dette begrunnes og leverandør må levere dokumentasjonen som trengs for å foreta en vurdering av undergruppen i tillegg til dokumentasjonen for hele indikasjonen.</i>	Anmodningen er basert på følgende kriterie fra Beslutningen i Beslutningsforum for nye metoder, 25.10.2021, punkt 4, ID2019_006: - Behandling med onasemnogene abeparvovec (Zolgensma) skal ikke kombineres med behandling med nusinersen (Spinraza) eller annen årsakskorrigerende behandling Foreslått behandling med nusinersen er i tråd med eksisterende indikasjon: «Behandling av 5q spinal muskelatrofi». SMA = spinal muskelatrofi
2.3 Handelsnavn	Spinraza
2.4 Generisk navn/virkestoff	Nusinersen
2.5 ATC-kode	M09AX07
2.6 Administrasjonsform og styrke <i>Oppgi også forventet dosering og behandlingstid</i> <i>Skriv kort</i>	Gis intratekalt ved spinalpunksjon, som bolusinjeksjon i 1-3 minutter vha. kanyler til spinalanestesi. Styrke: 12mg. Pakning: 5ml hetteglass.
2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme. <i>Skriv kort</i>	Farmakoterapeutisk gruppe: Andre midler mot muskel- og skjelettsykdommer. Virkningsmekanisme: Nusinersen er et antisense-oligonukleotid (ASO) som øker andelen av ekson 7-inklusjon i SMN2 (survival motor neuron 2)-mRNA-transkripter ved binding til et sete i intron 7 i SMN2 pre-mRNA. Denne bindingen fortrenger undertrykkende spleisefaktorer, og gir retensjon av ekson 7 i SMN2-mRNA. Når SMN2-mRNA dannes kan det dermed translateres til funksjonelt SMN-protein av full lengde.

3 Historikk – virkestoff og indikasjon

3.1 Har Nye metoder behandlet metoder med det aktuelle virkestoffet tidligere? <i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i>	Ja ☒ Nei ☐ ID-nummer: ID2017_001: Behandling av spinal muskelatrofi (SMA) hos barn.
---	---

	ID2020_031: Behandling av spinal muskelatrofi (SMA) hos voksne pasienter.
3.2 Er du kjent med om andre legemidler/virkestoff er vurdert i Nye metoder til samme indikasjon? <i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i>	Ja ☐ Nei ☒ ID-nummer: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
3.3 Er du kjent med om det er gjennomført en metodevurdering i et annet land som kan være relevant i norsk sammenheng? <i>Hvis ja, oppgi referanse</i>	Ja ☐ Nei ☒ Referanse: Vi er ikke kjent med at det er gjennomført metodevurderinger knyttet til nusinersen-behandling hos SMA-pasienter med suboptimal respons på genterapi (onasemnogene, Zolgensma).

4 Status for markedsføringstillatelse (MT) og markedsføring	
4.1 Har legemiddelet MT i Norge for en eller flere indikasjoner? <i>Hvis ja - skriv inn dato for norsk MT for den første indikasjonen</i>	Ja ☒ Nei ☐ Dato for MT for første indikasjon: 30.05.2017
4.2 Markedsføres legemiddelet i Norge?	Ja ☒ Nei ☐
4.3 Har legemiddelet MT i Norge for anmodet indikasjon? <i>For alle metoder: Fyll ut prosedyrenummer i EMA (det europeiske legemiddelbyrået)</i> <i>Hvis metoden ikke har MT i Norge, fyll ut forventet tidspunkt (måned/år) for CHMP opinion i EMA.</i> <i>Hvis metoden har MT i Norge, fyll ut dato for MT</i>	MT i Norge: Ja ☒ Nei ☐ Prosedyrenummer i EMA: EU/1/17/1188. Legemiddelet har markedsføringstillatelse for behandling av 5q SMA. Hvis metoden ikke har MT: Forventet tidspunkt for CHMP opinion i EMA (måned/år): Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst. Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge (måned/år): Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst. Hvis metoden har MT: Dato for MT i Norge for den aktuelle indikasjonen: 30.05.2017

4.4 Har legemiddelet en betinget markedsføringstillatelse for anmodet indikasjon? <i>Hvis ja, fyll ut en beskrivelse av hva som skal leveres til EMA og når.</i>	Ja ☐ Nei ☒ Beskrivelse: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
4.5 Har anmodet indikasjon vært i «accelerated assessment» hos EMA?	Ja ☐ Nei ☒
4.6 Har legemiddelet «orphan drug designation» i EMA? <i>Hvis ja, fyll ut dato</i>	Ja ☒ Nei ☐ Dato for «orphan drug designation»: 04.02.2012

5 Ordning for forenklet vurdering av PD-(L)1-legemidler

5.1 Er legemiddelet registrert i Nye metoders ordning «Forenklet vurdering av PD-(L)1-legemidler»?	Ja ☐ Nei ☒
---	---

6 Sammenlignbarhet og anbud

6.1 Finnes det andre legemidler med lignende virkningsmekanisme og /eller tilsvarende effekt til den aktuelle indikasjonen?	Ja ☐ Nei ☒ Kommentar: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
6.2 Vurderer leverandør at legemiddelet i anmodningen er sammenlignbart med et eller flere andre legemidler som Nye metoder har besluttet å innføre til den samme indikasjonen? <i>Hvis ja, hvilke(t)? Oppgi ID-nummer på metoden/metodene i Nye metoder</i>	Ja ☐ Nei ☒ Legemiddel og ID-nummer: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
6.3 Er det eksisterende anbud på terapiområdet som kan være aktuelt for legemiddelet?	Ja ☐ Nei ☒ Kommentar: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

7 Nordisk samarbeid JNHB (Joint Nordic HTA-bodies)

7.1 Er anmodet indikasjon aktuell for utredning i det nordiske HTA-samarbeidet JNHB? <i>Hvis nei, begrunn kort</i>	Ja ☐ Nei ☒ Begrunnelse: Det foreligger allerede en HTA for nusinersen (Spinraza) i Norge. Leverandør er av den oppfatning at eksisterende HTA kan benyttes i forbindelse med ny anmodning.
--	--

8 Europeisk samarbeid om vurdering av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)

8.1 Er anmodet legemiddel/indikasjon omfattet av regelverket for utredning av relativ effekt og sikkerhet i europeisk prosess (HTAR)? <i>Hvis ja, fyll ut dato for søknad om MT til EMA</i>	Ja ☐ Nei ☒ Dato for søknad til EMA: Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.
---	--

9 Helseøkonomisk dokumentasjon og forslag til helseøkonomisk analyse

9.1 Hvilken type helseøkonomisk analyse foreslår leverandøren? <i>F.eks. kostnad-per-QALY analyse eller kostnadsminimeringsanalyse.</i> <i>Begrunn forslaget</i>	Det foreligger allerede en HTA for nusinersen (Spinraza) i Norge. Leverandør er av den oppfatning at eksisterende HTA kan benyttes i forbindelse med ny anmodning. https://www.nyemetoder.no/metoder/nusinersen-spinraza/
9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.	Se punkt over.
9.3 Hvilken dokumentasjon skal ligge til grunn? (H2H studie, ITC, konstruert komparatorarm etc.) <i>Angi det som er relevant med tanke på hvilken type analyse som foreslås.</i>	Se punkt over.

9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.	Det foreligger allerede en HTA for nusinersen (Spinraza) i Norge. Leverandør mener den eksisterende HTA kan benyttes i forbindelse med ny anmodning, da de aktuelle pasientene ville ha blitt inkludert i den opprinnelige metodevurderingen. Basert på klinisk erfaring og tilgjengelige data, estimerer leverandør at 10-20% av pasienter behandlet med genterapi har suboptimal klinisk respons. Antall pasienter som tilbys nusinersen etter genterapi vil være høyest det første året og kan utgjøre anslagsvis 2-3 pasienter.
9.5 Forventet tidspunkt (måned og år) for levering av dokumentasjon til Direktoratet for medisinske produkter og/eller Sykehusinnkjøp HF.	Se punkt over.
<i>Tidspunkt må oppgis</i>	

10 Sykdommen og eksisterende behandling	
10.1 Sykdomsbeskrivelse for aktuell indikasjon <i>Kort beskrivelse av sykdommens patofysiologi og klinisk presentasjon / symptom bilde, eventuelt inkl. referanser</i>	SMA er en sjelden, arvelig, autosomal recessiv nevromuskulær lidelse forårsaket av delelsjoner i survival motor neuron 1-genet (SMN1-genet). SMA er en progressiv neurodegenerativ sykdom på tvers av alle SMA-undertyper, uavhengig av alder ved symptomdebut. Pasienter med SMA lider av degenerasjon av motornevroner i ryggmargen på grunn av mangel på SMN-protein. SMN2-genet er til stede i ≥ 1 kopi hos alle pasienter med SMA. Den lille mengden full-lengde SMN-protein produsert av SMN2 (~10%) kompenserer delvis for tapet av SMN1, slik at de fleste celletyper fungerer normalt. Det er imidlertid utilstrekkelig SMN-protein for overlevelse av motornevroner, noe som fører til progressiv muskelsvakhhet og atrofi.
10.2 Fagområde <i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i>	Velg fagområde fra menyen: Nevrologi
10.3 Kreftområde	Velg kreftområde fra menyen: Velg et element.

<i>Hvis metoden gjelder fagområdet Kreftsykdommer, angi hvilket kreftområde som er aktuelt</i>	
10.4 Dagens behandling <i>Nåværende standardbehandling i Norge, inkl. referanse</i>	Det er i dag ikke anledning til å kombinere onasemnogene abeparvovec (Zolgensma) med nusinersen (Spinraza) eller annen årsakskorrigerende behandling: Onasemnogene abeparvovec (Zolgensma) - Nye metoder. Dette gjelder også dersom pasienter har suboptimal klinisk respons på onasemnogene abeparvovec.
10.5 Prognose <i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i>	Forventet levealder hos barn med de mest alvorlige formene for SMA er inntil 2-3 år uten behandling. Disse pasientene kan ha tilnærmet normal vekst og motorisk utvikling under forutsetning av at behandlingen igangsettes før symptomdebut. SMA-pasienter med 2 eller 3 SNM2-kopier som identifiseres gjennom det nasjonal nyfødtscreeningprogrammet får tilbud om ett av de tre tilgjengelige behandlingsalternativene: nusinersen (Spinraza), risdiplam (Evrysdi) eller onasemnogene abeparvovec (Zolgensma). I Norge har alle barn som er diagnostisert med SMA gjennom nyfødtscreeningprogrammet (siden 2021) fått behandling med genterapi (onasemnogene abeparvovec). Prekliniske modeller og begrensede post-mortem-studier har vist at genterapi kun transduserer en subpopulasjon av målcellene. Studiene har vist at genterapi behandler opp til 60% av motornevronene, mens de ubehandlede nevronene vil degenerere og bidra til ytterligere sykdomsprogresjon (Foust et al., Nat Biotechnol, 2009; Meyer et al., Mol Ther 2015; Thomsen et al., Nat Med 2021). Kliniske erfaringer bekrefter at enkelte SMA-pasienter oppnår suboptimal effekt etter behandling med genterapi (Brandsema et al. og Sgobbi et al, Annual Cure SMA Research and Clinical Care Meeting, 2025).
10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen	Leverandør initierte i 2021 en klinisk studie som undersøker effekten av nusinersen hos SMA-pasienter med suboptimal klinisk effekt etter behandling med onasemnogene abeparvovec. En oppdatering på denne studien fra juni 2025 viser at nusinersen gir klinisk forbedring hos majoriteten av

	pasientene som har hatt en suboptimal klinisk respons etter genterapi (Brandsema et al, Annual Cure SMA Research and Clinical Care Meeting, 2025). På bakgrunn av medisinske og etiske hensyn anmoder leverandør om at norske pasienter med suboptimal klinisk respons etter genterapi skal kunne motta behandling med nusinersen med formål om å øke produksjon av SMN-protein i utransduserte motornevroner og forhindre ytterligere nevrodegenerasjon/sykdomsprogresjon. Manuskriptet er akseptert og vil om kort tid publiseres i Journal of Clinical Investigation (JCI).
10.7 Pasientgrunnlag <i>Beskrivelse, insidens og prevalens av pasienter omfattet av aktuell indikasjon* i Norge, inkl. referanse.</i> <i>Antall norske pasienter antatt aktuelle for behandling med legemiddelet til denne indikasjonen.</i> <i>* Hele pasientgruppen som omfattes av aktuell indikasjon skal beskrives</i>	Anmodningen omhandler pasienter som har suboptimal klinisk respons etter behandling med genterapi (onasemnogene abeparvovec, Zolgensma). Det fødes årlig ca 7 barn med SMA i Norge. 80-90% av disse har 2 eller 3 kopier av SMN2-genet (Nyfødtscreening - Oslo universitetssykehus HF) Leverandør har fått opplyst at rundt 16 barn har mottatt genterapi etter oppstart av nyfødtscreening for denne diagnosen i 2021.

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID <i>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</i>	A Phase 4 Study of Nusinersen (BIIB058) Among Patients With Spinal Muscular Atrophy Who Received Onasemnogene Abeparvovec, NCT04488133, https://clinicaltrials.gov/study/NCT04488133	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

11.2 Studietype og -design	Phase 4, multicenter, single-arm, open-label study	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.3 Formål	In this study, researchers will learn more about the use of nusinersen in participants with spinal muscular atrophy (SMA). This study focuses on children under the age of 3 who were previously treated with the gene therapy onasemnogene abeparvovec but are still facing health challenges related to their disease. The main goal of the study is to learn about the effect nusinersen has on muscle and movement ability (motor function).	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.4 Populasjon <i>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</i>	The RESPOND study includes children with SMA who are aged 36 months or younger. All of the participants must have received treatment with onasemnogene abeparvovec at least 2 months before joining this study and have suboptimal clinical status in at least 1 area (e.g motor function, bulbar function, respiratory function, other)	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	according to the study investigator.		
11.5 Intervensjon (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	Study participants received 4 loading doses of nusinersen (12mg) followed by maintenance doses every 4 months.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.6 Komparator (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	NA	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.7 Endepunkter <i>Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling</i>	Over the course of the study, patient data were collected on: - Motor function outcomes (Hammersmith Infant Neurological Examination – Section 2 [HINE-2]) - Neurofilament light chain (NfL) levels - Clinical Global Impression of Change (CGI-C) scores - Changes in suboptimal clinical status - Sucking and swallowing (HINE – Section 1 [HINE-1])	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	In addition, data were collected on patients' adverse events and serious adverse events. These data were used to assess the safety of nusinersen.		
11.8 Relevante subgruppeanalyser <i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i>	Subgroups: - Patients with 2 SMN2 copies - Patients with 3 SMN2 copies	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.9 Oppfølgingstid <i>Hvis pågående studie, angi oppfølgingstid for data som forventes å være tilgjengelige for vurderingen hos Direktoratet for medisinske produkter samt den forventede/planlagte samlede oppfølgingstid for studien</i>	The interim clinical outcomes were reported in 37 children enrolled in the RESPOND study who received at least 1 dose of nusinersen and had the opportunity to complete the Day 302 assessments by October 18, 2023 (interim set).	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.10 Tidsperspektiv resultater <i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i>	Ongoing study.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

11.11 Publikasjoner <i>Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publikasjon</i>	Poster: Brandsema JF, et al. Interim Results from RESPOND: Study of Nusinersen in children with Spinal Muscular Atrophy Previously Treated with Onasemnogene Abeparvovec. Presented at Annual Cure SMA Research and Clinical Care Meeting, Anaheim, June 26 – June 29, 2025. Manuskriptet er akseptert og vil om kort tid publiseres i Journal of Clinical Investigation (JCI).	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

12 Igangsatte og planlagte studier	
12.1 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet innenfor samme indikasjon som kan gi ytterligere informasjon i fremtiden? <i>Hvis ja, oppgi forventet tidspunkt</i>	Ja ☒ Nei ☐ Nusinersen etter behandling med onasemnogene abeparvovec: Flere publikasjoner med erfaringer fra klinisk praksis (RWE) forventes publisert i løpet av H2 2025. ASCEND (risdiplam -> nusinersen): https://clinicaltrials.gov/study/NCT05067790 DEVOTE (høyere dose nusinersen): https://clinicaltrials.gov/study/NCT04089566
12.2 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet for andre indikasjoner?	Ja ☐ Nei ☒

	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
--	---

13 Diagnostikk	
13.1 Vil bruk av legemiddelet til anmodet indikasjon kreve diagnostisk test for analyse av biomarkør? <i>Hvis ja, fyll ut de neste spørsmålene</i>	Ja ☐ Nei ☒
13.2 Er testen etablert i klinisk praksis? <i>Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?</i>	Ja ☐ Nei ☐ Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag? Ja ☐ Nei ☐
13.3 Hvis det er behov for en test som ikke er etablert i klinisk praksis, beskriv behovet inkludert antatte kostnader/ressursbruk	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

14 Andre relevante opplysninger	
14.1 Har dere vært i kontakt med fagpersoner (for eksempel klinikere) ved norske helseforetak om dette legemiddelet/indikasjonen? <i>Hvis ja, hvem har dere vært i kontakt med og hva har de bidratt med?</i> <i>(Relevant informasjon i forbindelse med rekruttering av fagekspert i Nye metoder)</i>	Ja ☐ Nei ☒ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
14.2 Anser leverandør at det kan være spesielle forhold ved dette legemiddelet som gjør at en innkjøpsavtale ikke kan basere seg på flat rabatt for at legemiddelet skal kunne oppfylle prioriteringskriteriene? <i>Hvis ja, begrunn kort.</i> <i>Hvis ja, skal eget skjema fylles ut og sendes til Sykehusinnkjøp HF samtidig med at</i>	Ja ☐ Nei ☒ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

<i>dokumentasjon til metodevurdering sendes til Direktoratet for medisinske produkter.</i> Nærmere informasjon og skjema: Informasjon og opplæring - Sykehusinnkjøp HF	
14.3 Andre relevante opplysninger?	Pre-kliniske studier og post-mortem-undersøkelser har vist at genterapi ikke fungerer på alle målceller. Videre viser kliniske erfaringer fra behandling med genterapi innen SMA at enkelte pasienter har en suboptimal klinisk respons. Basert på denne kunnskapen initierte Biogen en studie med som undersøker behandling med nusinersen hos pasienter med suboptimal klinisk respons på onasemnogene abeparvovec (Zolgensma). En oppdatering på denne studien fra juni 2025 viser at nusinersen ga klinisk bedring hos majoriteten av disse pasientene (Annual Cure SMA Research and Clinical Care Meeting, 26. – 29. juni, 2025). Biogen anmoder om at denne pasientgruppen får tilgang til nusinersen ut ifra et medisinsk- og etisk perspektiv. Kort oppsummering av data fra RESPOND-studien presentert ved Annual Cure SMA Research and Clinical Care Meeting, 26. – 29. juni (poster vedlagt anmodningsskjema): Background: - The RESPOND study includes children with SMA who are aged 36 months or younger (Figure 1). All of the participants must have received treatment with onasemnogene abeparvovec at least 2 months before joining this study and have suboptimal clinical status according to the study investigator. - Study participants received 4 loading doses followed by maintenance doses every 4 month - The interim clinical outcomes were reported in 37 children enrolled in the RESPOND study who received at least 1 dose of nusinersen and had the opportunity to complete the Day 302 assessments by October 18, 2023 (interim set). Results:

	- At Day 302, nearly all participants demonstrated improvements in motor function as measured by HINE-2 total motor milestone scores - NfL levels declined rapidly from baseline to Day 302 , suggestive of a slowing of axonal (nerve fiber) injury and neurodegeneration. - Most investigators and caregivers observed improvements in participants' illness at Day 302 (CGI-C, Clinical Global Impression of Change) - In 20 participants aged ≤ 24 months and not on gastrointestinal tube at baseline, sucking and swallowing remained stable or improved, as assessed with HINE-1 neurological exam - No new safety concerns have been identified at the time of the data cut Conclusion - Study participants showed consistent and continued improvements with no new safety concerns, which suggests a clinical benefit of adding nusinersen in infants and children with a suboptimal clinical response after treatment with onasemnogene abeparvovec. Kliniske erfaringer fra Brasil ble presentert på den samme kongressen (poster vedlagt anmodningsskjema): Background: - This study examines the clinical outcomes of children with SMA1 who received add-on nusinersen therapy following onasemnogene abeparvovec due to a suboptimal motor response. Summary of results: - Add-on nusinersen led to additional functional gains without raising new safety concerns - CHOP INTEND scores improved after the addition of nusinersen, with several patients approaching the maximum score. - Important new motor milestones were achieved, including independent standing and walking for some patients. - The need for NIV remained stable or decreased in most patients following combination therapy.
--	---

	Referanser: - Foust KD, et al. Intravascular AAV9 preferentially targets neonatal neurons and adult astrocytes. <i>Nat Biotechnol.</i> 2009 Jan;27(1):59-65. - Meyer K, et al. Improving single injection CSF delivery of AAV9-mediated gene therapy for SMA: a dose-response study in mice and nonhuman primates. <i>Mol Ther.</i> 2015 Mar;23(3):477-87. - Thomsen G, Biodistribution of onasemnogene abeparvovec DNA, mRNA and SMN protein in human tissue. <i>Nat Med.</i> 2021 Oct;27(10):1701-1711. - Brandsema JF, et al. Interim Results from RESPOND: Study of Nusinersen in children with Spinal Muscular Atrophy Previously Treated with Onasemnogene Abeparvovec. Presented at Annual Cure SMA Research and Clinical Care Meeting, Anaheim, June 26 – June 29, 2025. Manuskriptet er akseptert og vil om kort tid publiseres i <i>Journal of Clinical Investigation (JCI)</i>. - Sgobbi de Souza P et al. Add-on nusinersen in children with infantile-onset SMA with suboptimal motor response after gene therapy: a single center cohort study from Brazil. Presented at Annual Cure SMA Research and Clinical Care Meeting, Anaheim, June 26 – June 29, 2025
--	--

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no