

## Empfehlungen zur Verlaufsbeobachtung von Patienten mit SMA

### Reguläre Patientenvisiten mit aktueller Anamnese und klinischer Untersuchung

- 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 (4- bzw. 6-monatlich)

#### CHOP-INTEND:

- alle Kinder < 2 Jahre
- bei Patienten > 2 Jahren mit fehlender Sitzfähigkeit

#### HFMSE:

- alle Patienten > 2 Jahren mit Sitzfähigkeit

#### RULM:

- alle Patienten > 2 Jahren mit Sitzfähigkeit im Rollstuhl

#### 6-Minuten-Gehtest:

- alle Patienten > 3 Jahren mit Gehfähigkeit

### Lungenfunktion

- Bei ausreichender Kooperation des Patienten 4- bzw. 6-monatlich

### ALS Functional Rating Scale (optional)

- Bei erwachsenen Patienten

## SMARTCARE Lenkungs-gremium

Prof. Dr. Jan Kirschner  
Prof. Dr. Ulrike Schara  
Dr. Inge Schwersenz  
Prof. Dr. Maggie C. Walter  
Prof. Dr. Günther Bernert  
Prof. Dr. Hanns Lochmüller

## 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](http://www.smartcare.de)



Oktober 2018



## Verlaufsbeobachtung und Therapieevaluation bei Spinaler Muskelatrophie

Datensammlung aller Patienten mit SMA im deutschsprachigen Raum

Jeder Teilnehmer zählt!



## SMARTCARE



**SMARTCARE** ist eine krankheitsspezifische Datensammlung zur Erfassung von Real-World-Daten aus der Verlaufsbeobachtung von Patienten mit Spinaler Muskelatrophie (SMA) als gemeinsame Initiative von Neurologen, Neuropädiatern und Patientenorganisationen im deutschsprachigen Raum. Ziel ist eine objektive und systematische Verlaufsbeurteilung aller SMA Patienten unabhängig von der aktuellen Behandlung.

Die Erhebung der Daten erfolgt in der klinischen Routine. Zur Dokumentation der motorischen Funktionen werden standardisierte und für die SMA validierte Verfahren eingesetzt.

**SMARTCARE** soll als Forschungsnetzwerk zwischen den neuromuskulären Zentren zum Austausch von Erfahrungen in der Versorgung von Patienten mit SMA sowie zur Förderung von wissenschaftlichen Projekten dienen.

In Deutschland gibt es bereits seit vielen Jahren ein Register für Patienten mit Spinaler Muskelatrophie, in dem sich Patienten bzw. Familien registrieren können. Bitte weisen Sie Ihre Patienten auf diese Möglichkeit hin ([www.sma-register.de](http://www.sma-register.de)). **SMARTCARE** 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.

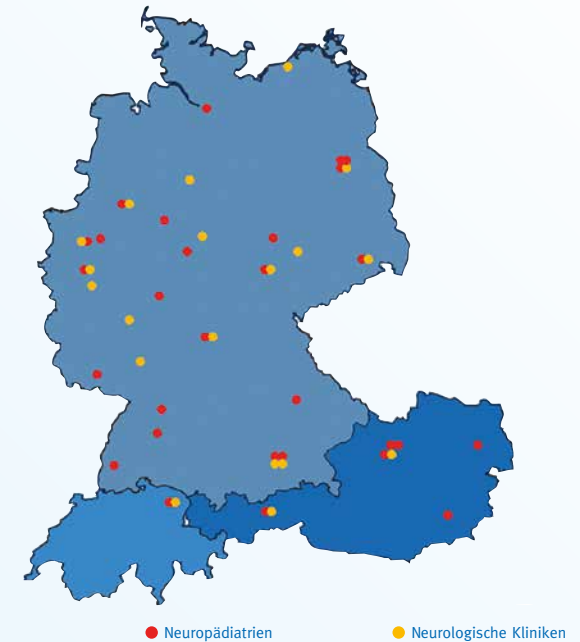
**Nusinersen** wurde im Mai 2017 als erstes Medikament zur Behandlung der SMA zugelassen. Weitere Medikamente befinden sich in der klinischen Entwicklung.

Die Zulassung von Nusinersen beruht auf klinischen Daten einer pädiatrischen Studienkohorte. Bislang gibt es kaum Evidenz für die Therapie bei schwerer betroffenen Patienten oder Patienten älter als 12 Jahre. Zudem gibt es keine Erfahrungen über einen längeren Behandlungszeitraum.

## Ziel von SMARTCARE ist eine Verbesserung der Versorgung von Patienten mit SMA durch:

- ein besseres Verständnis des natürlichen Krankheitsverlaufs und des Einflusses medikamentöser Therapien
- die Evaluation von Therapieerfolg und Sicherheit von medikamentösen Therapien in einer großen Kohorte an SMA Patienten
- die Etablierung von Behandlungsempfehlungen

## Teilnehmende Zentren



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

[smartcare@uniklinik-freiburg.de](mailto:smartcare@uniklinik-freiburg.de)

## Wer unterstützt SMARTCARE

**SMARTCARE** wird von der Firma Biogen unterstützt. Die Datensammlung und -auswertung erfolgen unabhängig von der pharmazeutischen Industrie. In Zukunft wird auch eine weitere Unterstützung durch andere Firmen oder öffentliche Förderer angestrebt.