

Warszawa, dnia 31.08.2021

Stanowisko Zarządu Polskiego Towarzystwa Wakcynologii w sprawie szczepień BCG w związku z wprowadzeniem terapii genowej SMA (rdzeniowego zaniku mięśni)

Rdzeniowy zanik mięśni (SMA) jest autosomalną, recesywną chorobą nerwowo-mięśniową, która charakteryzuje się postępującym osłabieniem i zanikiem mięśni. Przyczyną SMA jest homozygotyczna delecja lub mutacja genu przeżycia neuronu ruchowego 1 (SMN1), która skutkuje obniżoną ekspresją białka SMN i w konsekwencji degeneracją neuronów ruchowych w komórkach rogu przedniego rdzenia kręgowego i pnia mózgu.

Kluczowy dla niemowląt z SMA jest czas – zarówno w odniesieniu do postawienia rozpoznania, jak i możliwie szybkiego wdrożenia leczenia modyfikującego przebieg choroby.

W lutym 2021 roku decyzją Ministra Zdrowia do aktualnego Programu Badań Przesiewowych Noworodków dołączono SMA i do 2023 roku przesiew obejmie całą populację noworodków w Polsce. Wprowadzenie screeningu noworodków w kierunku SMA umożliwi szybkie rozpoznanie i wczesne rozpoczęcie terapii genowej, która poprawia rokowanie i zapobiega powikłaniom choroby.

Wprowadzenie na rynek produktu leczniczego Zolgensma (onasemnogen abeparwovek) stanowi przełom w leczeniu SMA typu I, aczkolwiek zdajemy sobie sprawę, że jest też przyczyną wielu wątpliwości związanych z przewlekłym stosowaniem glikokortykoidów i bezpieczeństwem szczepień w okresie noworodkowym. Onasemnogen abeparwovek jest terapią genową polegającą na wprowadzeniu do komórek funkcjonalnej kopii genu SMN1, z wykorzystaniem ludzkiego adenowirusa (adenowirus serotypu 9 - AAV9) jako nośnika/wektora. Po podaniu onasemnogen abeparwovek obserwuje się silną odpowiedź immunologiczną skierowaną przeciwko kapsydowi wektora wirusowego, która może skutkować wzrostem aktywności aminotransferaz wątrobowych, zwiększeniem stężenia troponiny lub zmniejszeniem liczby płytek krwi. Aby stłumić niekorzystną reakcję immunologiczną zaleca się zastosowanie leczenia immunomodulującego za pomocą glikokortykoidów (prednizolon w dawce 1mg/kg mc/dobę, 24h przed i przez kolejnych 30 dni po podaniu terapii genowej). Następnie przez 28 kolejnych dni dawkę glikokortykoidów należy stopniowo zmniejszać. W niektórych przypadkach dawka i czas leczenia kortykosteroidami muszą być indywidualnie dostosowane do pacjenta.

Niniejsze stanowisko Polskiego Towarzystwa Wakcynologii bazuje na

ZARZĄD GŁÓWNY

PRZEWODNICZĄCY

dr hab. n. med. Ernest Kuchar

ZASTĘPCA PRZEWODNICZĄCEGO

prof. Jacek Wysocki

SEKRETARZ

dr hab. n. med. Ewa Augustynowicz

SKARBNIK

dr n. med. Ewa Talarek

CZŁONKOWIE

dr n. med. Hanna Czajka

dr n. med. Ilona Małecka

dr n. med. Joanna Stryczyńska-Kazubska

prof. Leszek Szenborn

KOMISJA REWIZYJNA

PRZEWODNICZĄCY

dr n. med. Barbara Hasiec

CZŁONKOWIE

dr n. med. Ryszard Konior

dr n. med. Henryk Szymański

SIEDZIBA TOWARZYSTWA

Polskie Towarzystwo Wakcynologii

Wojewódzki Szpital Zakaźny

ul. Wolska 37, 01-201 Warszawa

listy@ptwakc.org.pl

http://ptwakc.org.pl/

ADRES DO KORESPONDENCJI

Klinika Pediatrii z Oddziałem

Obserwacyjnym

Warszawski Uniwersytet Medyczny

ul. Żwirki i Wigury 63 A

02-091 Warszawa

tel. 22 317 92 31

REGON: 015604195

NIP: 521-327-03-35

PKO BP V O/Warszawa,

95 1020 1055 0000 9502 0091 8250

dostępnej wiedzy oraz doświadczeniu klinicznym w zakresie szczepień ochronnych. Aktualnie nie są dostępne dane oceniające wpływ stosowanych przewlekle kortykosteroidów na bezpieczeństwo szczepień BCG u dzieci otrzymujących terapie genowe.

W związku z powyższym Zarząd Polskiego Towarzystwa Wakcynologii rekomenduje:

1. Prowadzenie szczepień BCG u wszystkich niemowląt w pierwszych dniach życia przed wypisaniem ze szpitala, zgodnie z zaleceniami zawartymi w PSO na 2021 rok.
2. Wczesne leczenie choroby podstawowej (SMA), ponieważ korzyści z leczenia przeważają nad ryzykiem związanym z ewentualnymi powikłaniami szczepienia BCG.
3. Zachowanie minimum 2-tygodniowego odstępu między podaniem szczepionki BCG, a terapią genową łącznie z terapią kortykosteroidami.
4. Przeprowadzenie rozszerzonej diagnostyki w przypadku niepokojących objawów, po podaniu szczepionki BCG dziecku po terapii genowej.
5. Wykonywanie szczepień niemowląt poddanych terapii genowej, zgodnie z wiekiem kalendarzowym.
6. Kontynuowanie szczepień za pomocą szczepionek inaktywowanych u dzieci poddawanych leczeniu immunosupresyjnemu, o ile stan dziecka na to pozwala.
7. Odroczenie szczepień wykonywanych za pomocą szczepionek żywych (atenuowanych) w czasie terapii glikokortykoidami, w tym rozważenie zasadności zastosowania szczepienia przeciwko rotawirusom u dzieci, leczonych immunosupresyjnie, z uwagi na zwiększone ryzyko powikłań.
8. Indywidualną kwalifikację do szczepień dzieci objętych terapią genową.



Prezes Polskiego Towarzystwa Wakcynologii

dr hab. n. med. Ernest Kuchar