



Десет години партнерство во спинална мускулна атрофија (СМА)



Во 2021 година, Рош прославува 10 години партнерство со заедницата на СМА во постигнување на нашата заедничка цел за подобрување на животот на луѓето со оваа ретка состојба.

Како започна приказната...

1

2011

Рош влегува во соработка со SMA Foundation и PTC Therapeutics, со цел да ја претвори врвната технологија на PTC во третман за лицата со СМА^{1,2}



Извонредноста на партнерството беше клучно за програмата на СМА, секој партнер придонесе со нивните уникатни способности и вештини во целокупната работа

Senior Vice President, Roche Global Head Neuroscience and Rare Diseases Clinical Development²



2

2011-2015

Научниците од тројцата партнери проучуваат неколку молекули со потенцијал за лекување на СМА и прават значителна разлика кај оние што живеат со оваа состојба^{2,3}



Во научните истражувања, неуспехот може да дојде во секое време, но тоа не треба да не стопира. Беше разочарувачки кога развојот на нашата прва молекула беше запрен, но ... Нашиот менаџмент и околината ни овозможиле да бидеме храбри и да се обидеме повторно - дури и да не успеаме повторно, но за среќа успеавме!

Медицински хемичар во Рош³

3

2015

Научниците утврдија дека некои истражувачки молекули веројатно нема да бидат безбедни и ефикасни, но една молекула која ветуваше се појави⁴⁻⁶



4

2016

Рош ја создаде најголемата програма за клинички развој во СМА досега, со пациенти на различна возраст, тип и сериозност на болеста, за да се испита молекулата која ветуваше⁷⁻¹¹



5

Октомври 2017

Скалата за независност во СМА (анг. SMA Independence Scale, SMAIS) развиена во соработка со Cure SMA, SMA Europe и лицата кои живеат со СМА¹²

Развиена како одговор на потребата на заедницата за одржување на независноста, таа е клиничка алатка која го мери нивото на поддршка потребна за извршување на помали дневни активности кај СМА¹²

SMAIS е достапна за сите истражувачи и здравствени работници бесплатно



6

2018

Рош се приклучи на Cure SMA Clinical Trial Readiness Program¹³

Создаде ново средство за:

- Ангажирање на истражувачки центри заинтересирани за клинички истражувања во СМА
- Обезбеди ресурси за оптимизирање на спремноста за истражувања
- Промоција на управување со истражувања насочени кон пациентот¹³



Make today a breakthrough.



Август 2020

Рош се приклучи на European Alliance for Newborn Screening, предводена од SMA Europe¹⁶ по успехот во САД, во кампања за воведување на тест за СМА во сите програми за неонатален скрининг до 2025¹⁶

7

2018

Рош се приклучи на US Newborn Screening Coalition во кампања за вклучување на тест за СМА во неонаталниот скрининг¹⁴

Доказите покажуваат дека раната дијагноза и третман на СМА доведува до подобри исходи¹⁵

До 2021 година, 69% од живородените деца во САД се скринирани за СМА¹⁵



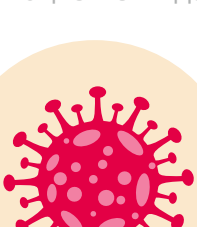
Август 2020

Лекот на Рош е одобрен во САД за третман на СМА кај возрастни лица и деца на возраст од 2 месеци и постари^{17,18}

8

2020

Во тек на пандемијата на COVID, Рош ги прилагоди клиничките истражувања за да ги задоволи потребите на заедницата нудејќи безконтактна достава на лекот до домот на пациентот и домашна посета



Јас сум многу горд и благодарен на сè што досега колективно постигнавме и се надевам дека во иднина заедно ќе ги надминеме предизвиците кои престојат, и возбудени да им помогнеме на лицата со СМА во создавање на подобра иднина

Global Head and SVP, Neuroscience and Rare Diseases Clinical Development at Roche



Јули 2021

Лекот на Рош е одобрен од Агенцијата за лекови и медицински средства (МАЛМЕД) за третман на СМА кај возрастни лица и деца на возраст од 2 месеци и постари¹⁹

2021 и понатаму

Многу предизвици остануваат во СМА, и додека Рош и нашиот партнер гледаат кон иднината, нашиот непоколеблив фокус останува на работата со заедницата за да овозможиме пристап до третман за сите подобни пациенти, подобрување на исходните и градење на подобра утре за сите

Референци:

1. Roche signs agreement with PTC Therapeutics for treatment of Rare Muscular Atrophy (SMA). достапно на: <https://www.roche.com/media/releases/med-cor-2011-11-29.htm>, пристапено: март 2021 г.;
2. Roche. The power of partnership. достапно на: <https://www.roche.com/partnering/spinal-muscular-atrophy-sma-together.htm>, пристапено: март 2021 г.;
3. Roche. A passion for impossible discovery. достапно на: <https://www.roche.com/research-and-development/what-we-are-working-on/neuroscience/scientist-sma.htm>, пристапено: март 2021 г.;
4. ClinicalTrials.gov. NCT02240355 (MOONFISH). достапно на: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02240355>, пристапено: март 2021 г.;
5. SMA Schweiz. RG7800 Moonfish Memo. достапно на: <https://www.sma-schweiz.ch/wp-content/uploads/2015/05/RG7800-Moonfish-memo.pdf>, пристапено: март 2021 г.;
6. SMA Europe. Roche announces new clinical trial for RG7916 in spinal muscular atrophy. достапно на: <https://www.sma-europe.eu/news/roche-clinical-trial-for-rg7916/>, пристапено: март 2021 г.;
7. ClinicalTrials.gov. NCT02633709. достапно на: <https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02633709?term=RO7034067&draw=2&rank=2>, пристапено: март 2021 г.;
8. ClinicalTrials.gov. NCT02908685 (SUNFISH). достапно на: <https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02908685?term=RO7034067&draw=2&rank=5>, пристапено: март 2021 г.;
9. ClinicalTrials.gov. NCT02913482 (FIREFISH). достапно на: <https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02913482?term=RO7034067&draw=2&rank=1>, пристапено: март 2021 г.;
10. ClinicalTrials.gov. NCT03032172 (JEWELFISH). достапно на: <https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03032172?term=RO7034067&draw=2&rank=3>, пристапено: март 2021 г.;
11. ClinicalTrials.gov. NCT0379334 (RAINBOWFISH). достапно на: <https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT0379334?term=rainbowfish&draw=2&rank=1>, пристапено: март 2021 г.;
12. Genentech. Measuring the SMA experience. достапно на: <https://www.genentech.com/stories/measuring-the-sma-experience>, пристапено: март 2021 г.;
13. Peterson I, et al. The SMA Clinical Trial Readiness Program: creation and evaluation of a program to enhance SMA trial readiness in the United States. Orphan J Rare Dis. 2020; 15:1118.
14. Cure SMA. Compass Spring 2018. Newborn Screening Requirement for SMA to Accelerate Diagnosis. достапно на: <https://www.curesma.org/wp-content/uploads/2019/07/compass-spring-2018.pdf>, пристапено: март 2021 г.;
15. Cure SMA. Cure SMA Newborn Screening for SMA. достапно на: <https://www.curesma.org/newborn-screening-for-sma/>, пристапено: март 2021 г.;
16. SMA Europe. Newborn screening. достапно на: <https://www.sma-europe.eu/our-advocacy/newborn-screening/>, пристапено: март 2021 г.;
17. Roche. FDA approves Roche's Evrysdi (risdiplam) for treatment of spinal muscular atrophy (SMA) in adults and children 2 months and older. достапно на: <https://www.roche.com/media/releases/med-cor-2020-08-10b.htm>, пристапено: март 2021 г.;
18. U.S. Food & Drug Administration. FDA Approves Oral Treatment for Spinal Muscular Atrophy. достапно на: <https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-oral-treatment-spinal-muscular-atrophy>, пристапено: март 2021 г.;
19. Рош Македонија. Evrysdi е одобрен од МАЛМЕД како прв и единствен лек за СМА кој се прима во домашни услови. достапно на: https://www.roche.mk/mk/evrysid/soopnenie_risdiplam_MALMED.html, пристапено: 13. јули 2021 г.