



## Соопштение

РОШ Македонија ДООЕЛ СКОПЈЕ  
Бизнис Центар Настел  
ул. Максим Горки бр. 13  
1000 Скопје, Република Северна Македонија  
Тел. 02 3103 500  
www.roche.mk

Скопје, 13. јули 2021 година

### **Evrysdi<sup>▼</sup> е одобрен од МАЛМЕД како прв и единствен лек за СМА кој се прима во домашни услови**

- Во две клинички студии, Evrysdi покажал ефикасност кај возрасни лица, деца и новороденчиња на возраст од 2 месеци и постари
- Повеќе од 3 000 пациенти се лекуваат со Evrysdi во клинички студии, Програмите за помош од сочувство и во редовна клиничка пракса
- Рош активно соработува со здравствените власти за да се постигне брз пристап до лекот за пациентите со СМА
- Evrysdi е првиот и единствен лек за СМА што може да се зема во домашни услови

„Рош“ денес објави дека Агенцијата за лекови и медицински средства на Република Северна Македонија (МАЛМЕД) го одобри лекот Evrysdi (risdiplam) за третман на 5q спинална мускулна атрофија (СМА) кај пациенти на возраст од 2 месеци и постари, со клиничка дијагноза на СМА тип 1, тип 2 или тип 3 или со една до четири SMN2 копии. СМА е водечка генетска причина за смрт кај доенчиња. СМА предизвикува мускулна слабост и прогресивно губење на подвижноста и претставува значителна незадоволена медицинска потреба, особено кај возрасните лица кои живеат со оваа состојба.

„Денешното одобрување на Evrysdi, првиот и единствен лек за третман на СМА со докажана ефикасност што може да се зема дома, потенцијално ги трансформира третманските опции за широк спектар на лица со СМА кои живеат кај нас“, изјави д-р Александра Ивановска, раководител на Рош Македонија. „Веруваме дека Evrysdi, со неговиот поволен клинички профил и оралната администрација, може да понуди значајни придобивки за многумина кои живеат со оваа ретка невролошка болест, за нивните старатели и целиот здравствен систем. Би сакале да им се благодариме на СМА заедницата за партнерството, довербата што ни ја дадоа и нивната непоколеблива посветеност да ја постигнеме оваа значајна пресвртница“.

„Денес пациентската заедница во Република Северна Македонија се радува затоа што оралната терапија за спинална мускулна атрофија доби одобрување во нашата земја и се

вброи во групата на земји кои можат слободно да ја применуваат во третман на СМА“, изјави г-ѓа Деница Велковска, Претседател на Здружението СТОП-СМА, Скопје. „За пациентите и нивните семејства најважно е да имаат пристап до терапија, но започнувањето со терапија да биде навремено и брзо по поставување на дијагнозата. За овие две начела континуирано ќе соработуваме со сите релевантни фактори и се надеваме дека следните генерации ќе имаат веќе воспоставен и ефикасен систем. Благодарни сме на Рош Македонија за соработката и нивната посветеност за брза регистрација на лекот, само 3 месеци по одобрувањето во ЕУ.“

Одлуката на МАЛМЕД следи после позитивната одлука од Европската Агенција за лекови (анг. European Medicines Agency) донесена на 30. март 2021 година. Одобрението се заснова на податоци од две клинички студии, дизајнирани да го претстават широкиот спектар на луѓе кои живеат со СМА: FIREFISH кај симптоматски доенчиња со СМА тип 1 на возраст од 2 до 7 месеци и SUNFISH кај симптоматски деца и возрасни со СМА тип 2 и 3 на возраст од 2 до 25 години. SUNFISH е првата и единствена плацебо-контролирана студија која вклучила возрасни лица со СМА тип 2 и 3. Evrysdi покажа поволна ефикасност и добар безбедносен профил во двете испитувања. Evrysdi е одобрен во повеќе од 40 земји и дополнително во уште 33 земји е во процес на разгледување за регистрација.

Рош го води клиничкиот развој на risdiplam како дел од соработката со Foundation SMA и PTC Therapeutics.

### **За Evrysdi (risdiplam)**

Evrysdi е SMN2 модификатор за врзување дизајниран за лекување на СМА предизвикана поради мутации во хромозомот 5q кои водат до дефицит на SMN протеинот. Risdiplam се администрира во течна форма секој ден дома, преку уста или сонда за исхрана.

Evrysdi е дизајниран да ја лекува СМА преку зголемување на производството на протеинот за преживување на моторниот неврон (анг. survival of motor neuron, SMN). SMN протеинот се наоѓа насекаде низ телото и игра клучна улога во одржување на здрави моторни неврони и движења.

Во моментот Evrysdi се истражува во четири мултицентрични студии кај лица со СМА:

- FIREFISH (NCT02913482) е отворена студија во два дела дизајнирана да ја испита безбедноста, толерабилноста, ефикасноста, фармакокинетиката и фармакодинамиката кај пациенти на возраст од 1 до 7 месеци со СМА тип 1. Дел 1 од студијата проценувал неколку дози на risdiplam и ја потврдил терапевтската доза која понатаму се испитувала во Дел 2 од студијата. Дел 2 е регистрациона студија со една гранка на risdiplam кај 41 новороденче со СМА тип 1 во тек на 2 години, проследено со активен продолжеток на студијата. Регутирањето на пациенти во Дел 2 заврши во ноември 2018 година. Основната цел на Дел 2 беше да се процени ефикасноста, оценета како процент на доенчиња кои седат без поддршка по 12 месеци третман, измерена со Gross Motor Scale of the Bayley Scales of Infant and Toddler Development – Third Edition (BSID-III) (дефинирано како седење без поддршка во тек на 5 секунди). Студијата ја исполни својата примарна клучна цел.
- SUNFISH (NCT02908685) е плацебо-контролирана, мултицентрична регистрациона студија во два дела, која била дизајнирана да ја испита безбедноста, толерабилноста, ефикасноста, фармакокинетиката и фармакодинамиката кај пациенти со СМА тип 2 или 3 на возраст од 2 до 25 години. Дел 1 (n = 51) ја одредил дозата за Дел 2. Дел 2 (n = 180) ја оценил моторната функција користејќи го вкупниот резултат на Motor Function Measure 32 (MFM-32) на 12-от месец. MFM-32 е

валидирана скала што се користи за проценка на фината и бруто моторната функција кај луѓе со невролошки нарушувања, вклучително и СМА. Студијата ја исполни својата примарна клучна цел.

- JEWELFISH (NCT03032172): отворена студија дизајнирана да ја испита безбедноста, толерабилноста, фармакокинетиката и фармакодинамиката кај лица со СМА на возраст од 6 месеци до 60 години кои претходно биле лекувани со истражувачки или одобрени лекови за СМА во тек на најмалку 90 дена пред започнување на третман со Evrysdi. Оваа студија заврши со регрутирање на пациенти (n=174).
- RAINBOWFISH (NCT03779334): отворена, мултицентрична студија со една гранка, која ја испитува ефикасноста, безбедноста, фармакокинетиката и фармакодинамиката на risdiplam кај новороденчиња (~n=25), од раѓање до 6 недели (при првата доза), со генетски потврдена СМА кои сè уште немаат симптоми. Оваа студија сè уште регрутира пациенти.

### **За спинална мускулна атрофија**

Спинална мускулна атрофија (СМА) е тешка, прогресивна невромускулна болест која може да биде фатална. Се среќава кај приближно едно бебе на 10.000 и е водечка генетска причина за смрт кај доенчиња. СМА е предизвикана од мутација во генот за преживување на моторните неврони 1 (анг. survival motor neuron 1, SMN1) кое резултира со недостаток на SMN протеинот. Овој протеин се наоѓа насекаде низ телото и е клучен во нормално функционирање на нервите кои ги контролираат мускулите и движењата. Без него, нервните клетки не можат да функционираат правилно, што доведува до мускулна слабост со тек на времето. Во зависност од типот на СМА, физичката сила на човекот и нивната способност за пешачење, јадење или дишење може значително да се намали или изгуби.

### **За „Рош“ во невронауката**

Невронауката е еден од главните фокуси на истражувањата и развојот во „Рош“. Целта на компанијата е да развијат нови третмански опции кои ќе им помогнат на лицата со хронични и потенцијално онеспособувачки болести.

„Рош“ во своето портфолио има неколку лекови кои се во фаза на истражување и клинички развој за невролошки болести вклучувајќи: мултипла склероза, нарушувања на спектарот на оптички невромиеелитис, Алцхајмерова болест, Хантингтонова болест, Паркинсонова болест, Душенова мускулна дистрофија и нарушувања на аутистичкиот спектар. Заедно со нашите партнери, ние сме посветени да ги надминеме границите на научното разбирање за да ги решиме некои од најтешките предизвици во невронауката денес.

### **За „Рош“**

„Рош“ е глобален пионер во полето на фармацијата и дијагностиката насочен кон унапредување на науката заради подобрување на животот на луѓето. Обединетите сили на фармацијата и дијагностиката под еден покрив го направија „Рош“ лидер во персонализираната медицина - стратегија чија цел е лекувањето да се приспособи кон секој пациент на најдобар можен начин.

„Рош“ е најголемата биотехнолошка компанија во светот, со вистински диференцирани производи во областа на онкологијата, имунологијата, заразните болести, офталмологијата и болестите на централниот нервен систем. Исто така, „Рош“ е светски лидер за ин-витро дијагностика, ткивна канцер-дијагностика и предводник во контролата на дијабетесот.

Основан во 1896 година, „Рош“ и натаму бара подобри начини за спречување, дијагностицирање и лекување на болестите, и дава одржлив придонес кон општеството. Компанијата е насочена и кон подобрување на пристапот на пациентите до медицински иновации, преку соработка со сите релевантни чинители. Повеќе од триесет лекови развиени од „Рош“ се вклучени во модел-листите со основни (есенцијални) лекови на Светската здравствена организација, меѓу кои и антибиотици за спасување на животот, антималярици и лекови против рак. Покрај тоа, дванаесетта година по ред, Рош е призната како една од најодржливите компании во фармацевтската индустрија во Индексите за одржливост на Dow Jones (DJSI).

Групацијата „Рош“ со седиште во Базел, Швајцарија, е активна во повеќе од 100 земји. Во 2020 година бројот на вработените беше повеќе од 100.000 луѓе ширум светот. Во 2020 година, „Рош“ инвестираше 12,2 милијарди швајцарски франци во истражување и развој и прикажа продажба од 58,3 милијарди швајцарски франци. Genentech, во Соединетите Американски Држави, е членка во целосна сопственост на групацијата „Рош“. „Рош“ е мнозински акционер на Chugai Pharmaceuticals, Јапонија.

За повеќе информации, Ве молиме посетете ја страницата [www.roche.mk](http://www.roche.mk).

Сите заштитени имиња употребени или споменати во ова соопштение се заштитени со закон.

▼ Овој лек подлежи на дополнителен мониторинг кој ќе придонесе за идентификација на нови информации за безбедноста на лекот. Здравствените работници се замолуваат да ги пријавуваат сите сомнителни несакани реакции.

#### **Референци:**

Збирен извештај за особините на лекот Evrysdi (risdiplam), последна измена: јуни 2021 година.

*Наменето само за здравствени работници*