



Соопштение

РОШ Македонија ДООЕЛ СКОПЈЕ
Деловен Центар Сити Плаза
Ул. Св. Кирил и Методиј бр. 7, кат 2
1000 Скопје Република Северна Македонија
Тел. 02 3103 500 Факс 02 3103 505

Скопје, 23. јануари 2020 година

Risdiplam ја исполни примарната цел во регистрационата студија FIREFISH кај новороденчиња со спинална мускулна атрофија тип 1

- **Risdiplam покажал статистички значајно и медицински значајно подобрување на моторната функција кај новороденчиња со СМА тип 1**
- **до денес, нема безбедносни наоди поврзани со третманот кои довеле до повлекување од студиите во кои се истражува risdiplam**
- **податоците ќе бидат споделени со здравствените власти ширум светот**

„Рош“ денес објави позитивни резултати од Дел 2 од регистрационата студија FIREFISH, која го проценува risdiplam во третман на новороденчиња на возраст од 1-7 месеци со спинална мускулна атрофија (СМА) тип 1. Примарната цел на студијата беше да се одреди процентот на новороденчиња кои седат без поддршка во тек на најмалку 5 секунди на 12-тиот месец од лекувањето, оценето според Gross Motor Scale of the Bayley Scales of Infant and Toddler Development Third Edition (BSID-III). Безбедноста на risdiplam во студијата FIREFISH била во согласност со неговиот познат безбедносен профил и не биле идентификувани нови безбедносни сигнали. До денес, повеќе од 400 пациенти биле лекувани со risdiplam во сите студии, нема наоди за безбедност поврзани со третманот кои довеле до повлекување од студиите кои се спроведуваат со risdiplam.

„Ова големо, глобално истражување ја потврдува ефикасноста на risdiplam кај популација на пациенти тешки за третман, вклучително и многу новороденчиња чијашто болест веќе напредувала значително пред да започне лекувањето“, изјави д-р Levi Garraway, Главен медицински директор и Шеф на одделот за развој на производи во „Рош“. „Ние сме многу охрабрени од овие резултати и со нетрпение очекуваме да ги споделиме со регулаторните власти. Им се заблагодаруваме на целата заедница на СМА за континуираното партнерство“.

Risdiplam е survival motor neuron-2 (SMN-2) модификатор за врзување и лек во фаза на истражување, дизајниран да обезбеди зголемување и одржување на нивото на

SMN протеинот во централниот нервен систем и во периферните ткива на телото. „Рош“ го спроведува клиничкиот развој на risdiplam како дел од соработката со SMA Foundation и PTC Therapeutics. Податоците од студијата FIREFISH ќе бидат презентирани на претстојниот медицински конгрес.

Risdiplam се истражува во широка програма за клиничко испитување во СМА, кај пациенти од раѓање до 60 годишна возраст и вклучува пациенти кои претходно биле лекувани со СМА таргет лекови. Клиничките студии се спроведуваат кај широк спектар на пациенти од редовна рутинска клиничка пракса, лица кои живеат со оваа болест, со цел да се обезбеди пристап за сите соодветни пациенти.

На 11. ноември 2019 година, „Рош“ објави позитивни резултати од Дел 2 од студијата SUNFISH, која ја проценува ефикасноста и безбедноста на risdiplam кај лица на возраст од 2-25 години со СМА тип 2 или тип 3. Исто така, во ноември 2019 година, Администрацијата за храна и лекови во САД (анг. Food and Drug Administration) на лекот risdiplam му додели приоритетен преглед со одлука за негово одобрување до 24. мај 2020 година.

За студијата FIREFISH

FIREFISH е отворена, регистрациона студија во два дела кај новороденчиња на возраст од 1 до 7 месеци со СМА тип 1. Дел 1 (n=21) го проценил безбедносниот профил на risdiplam и ја утврдил дозата за Дел 2. Дел 2 (n=41) ја проценил ефикасноста преку мерење на процентот на новороденчиња кои седат без поддршка после 12 месеци од третманот и подолго, оценето според Gross Motor Scale of the Bayley Scales of Infant and Toddler Development – Third Edition (дефинирано како седење без поддршка во тек на 5 секунди).

За спинална мускулна атрофија

Спинална мускулна атрофија (СМА) е тешка, вродена, прогресивна невромускулна болест која предизвикува тешки мускулни атрофии и компликации поврзани со болеста. Таа е најчестата генетска причина за смртност кај доенчиња и една од најчестите ретки болести која се јавува кај приближно едно бебе на 11.000. СМА води кон прогресивен губиток на нервните клетки во рбетниот мозок кои го контролираат движењето на мускулите. Во зависност од типот на СМА, физичката сила на поединецот и нивната способност за движење, јадење или дишење може значително да се намалат или изгубат.

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. SMN протеинот се наоѓа насекаде во телото и голем број докази покажуваат дека губењето на SMN протеинот може да влијае на многу ткива и клетки, кое може да предизвика телото да престане да функционира нормално.

За risdiplam

Risdiplam е SMN-2 модификатор за врзување кај СМА и лек во фаза на истражување кој се администрира орално. Дизајниран е да обезбеди зголемување и одржување на нивото на SMN протеинот во централниот нервен систем и во периферните ткива на

телото. Моментално се проценува неговата потенцијална способност да му помогне на генот SMN2 да произведе пофункционален SMN протеин во целото тело.

Risdiplam во моментов се испитува во четири мултицентрични студии кај лица со СМА.

- FIREFISH (NCT02913482) – спомената погоре. Податоците ќе бидат презентирани на претстојниот медицински конгрес.
- SUNFISH (NCT02908685) - во два дела, двојно слепа, плацебо-контролирана регистрациона клиничка студија кај деца и млади лица (од 2-25 години) со СМА тип 2 и 3. Дел 1 (n = 51) ја утврдил дозата која се користи во Дел 2. Дел 2 (n=180) ја оценува моторната функција користејќи го вкупниот резултат на Motor Function Measure 32 (MFM-32) на 12-тиот месец. Дел 2 ја исполнил својата примарна цел во ноември 2019 година. Податоците ќе бидат презентирани на претстојниот медицински конгрес.
- JEWELFISH (NCT03032172) - отворена студија кај лица со СМА на возраст од 6 месеци до 60 години кои претходно биле лекувани со SMN таргет лекови. Оваа студија сè уште регрутира пациенти.
- RAINBOWFISH (NCT03779334) - е отворена, мултицентрична студија во една гранка, која ја испитува ефикасноста, безбедноста, фармакокинетиката и фармакодинамиката на risdiplam кај бебиња (~n=25), од раѓање до 6 недели, со генетски потврдена СМА кои сè уште немаат симптоми. Оваа студија сè уште регрутира пациенти.

За „Рош“ во невронауката

Невронауката е еден од главните фокуси на истражувањата и развојот во „Рош“. Целта на компанијата е да се развијат третмански опции кои се базираат на биологијата на нервниот систем со цел да им се помогне на лицата со хронични и потенцијално онеспособувачки болести, да го подобрат нивниот живот.

„Рош“ во своето портфолио има неколку лекови кои се во фаза на истражување и клинички развој за невролошки болести вклучувајќи: мултипла склероза, спинална мускулна атрофија, неуромиелитис оптика спектар на нарушувања, Алцхајмерова болест, Хантингтонова болест, Паркинсонова болест, Душенова мускулна атрофија и аутизам.

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. Единаесет години по ред, во Индексите за одржливост на Dow Jones (DJSI),

Групацијата „Рош“ со седиште во Базел, Швајцарија, е активна во повеќе од 100 земји. Во 2018 година бројот на вработените беше околу 94.000 луѓе ширум светот. Во 2018 година, „Рош“ инвестираше 11 милијарди швајцарски франци во истражување и развој и прикажа продажба од 56,8 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, посетете ја страницата www.roche.mk.

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