



Соопштение

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

Скопје, 25. ноември 2019 година

FDA додели *Приоритетен преглед* на лекот risdiplam за третман на спинална мускулна атрофија

- **Регистрационото досие вклучува 12-месечни податоци од регистрационите студии FIREFISH and SUNFISH во широка популација на лица кои живеат со СМА тип 1, 2 или 3**

„Рош“ денес објави дека Администрацијата за храна и лекови во САД (анг. Food and Drug Administration, FDA) го прифати регистрационото досие (анг. New Drug Application, NDA) и додели *Приоритетен преглед* (Priority Review) на risdiplam, SMN-2 модификатор за врзување кај спинална мускулна атрофија (СМА) и лек во фаза на истражување. Risdiplam е дизајниран е да обезбеди зголемување и одржување на нивото на SMN протеинот во централниот нервен систем и во периферните ткива на телото. Се очекува FDA да донесе одлука за одобрување на лекот на 24. мај 2020 година.

„Студиите на FIREFISH и SUNFISH беа дизајнирани да го претставуваат реалниот спектар на лица кои живеат со СМА и вклучиле многу лица кои претходно биле помалку застапени во клиничките испитувања“, изјави д-р Levi Garraway, Главен медицински директор и Шеф на одделот за развој на производи во „Рош“. „Со нетрпение очекуваме да соработуваме со FDA за да овозможиме пристап до risdiplam за сите лица со СМА кои можат да имаат корист“.

Регистрационото досие за risdiplam вклучува 12-месечни податоци од Дел 1 за одредување на дозата од регистрационите студии FIREFISH и SUNFISH, како и податоци од Дел 2 за потврда на дозата од SUNFISH. FIREFISH е отворена студија, во два дела, регистрациона клиничка студија кај доенчиња со СМА тип 1. Првиот дел од студијата беше за ескалација на дозата кај 21 доенче на возраст од една до седум месеци. Примарната цел на Дел 1, кој ја проценува ефикасноста како клучна крајна цел, беше да се процени безбедносниот профил на risdiplam кај новороденчиња и да се утврди дозата за вториот дел кој во една гранка го

проценува risdiplam кај 41 новороденче со СМА тип 1 во тек на 24 месеци, проследено со отворен продолжеток на студијата.

SUNFISH е двојно слепа, плацебо-контролирана регистрациона клиничка студија во два дела кај деца и млади лица (на возраст од 2 - 25 години) со СМА тип 2 и 3. Првиот дел од студијата имаше за цел да ја одреди дозата која беше потврдена во вториот дел и проценка на ефикасноста како експлораторна крајна цел. Вториот дел од SUNFISH е голема плацебо-контролирана студија која го проценува третманот кај СМА тип 2 и 3. Неодамна, вториот дел од студијата ја исполни примарната клиничка цел за промена од почетната позиција во Motor Function Measure 32 (MFM-32) скалата.* Не бил пријавен ниту еден безбедносен сигнал поврзан со лекот кој довел до повлекување од било која студија на risdiplam до денес. Безбедноста за risdiplam беше конзистентна со неговиот познат безбедносен профил и не беа идентификувани нови безбедносни сигнали. Резултатите ќе бидат презентирани на претстојниот медицински конгрес.

Доколку биде одобрен, risdiplam, течност која се зема орално, ќе биде првиот домашно администриран лек за лица кои живеат со СМА. Покрај студиите вклучени во регистрационото досие, risdiplam се проценува и во широка програма за клиничко испитување кај пациенти со СМА, од новороденчиња до лица на возраст од 60 години и вклучува и пациенти кои претходно биле лекувани со третмани за СМА.

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

Доделувањето на Приоритетен преглед се дава на лекови за кои FDA смета дека имаат потенцијал да обезбедат значителни подобрувања во безбедноста и ефикасноста на третманот, превенција или дијагностика на сериозна болест. Претходно, FDA, исто така, доделил и ознака за Orphan Drug на risdiplam во јануари 2017 година, проследено со ознака за Fast Track во април 2017 година.

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.

3a 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) - отворена студија, во два дела, регистрациона клиничка студија кај доенчиња со СМА тип 1.
- 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.
- JEWELFISH (NCT03032172) - отворена студија кај лица со СМА тип 1, 2 или 3, на возраст од 6 месеци до 60 години кои претходно биле лекувани со SMN таргет лекови, генска терапија или со olesoxime. Оваа студија 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 сеуште немаат симптоми. Оваа студија 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 и аутизам.

За „Рош“

„Рош“ е глобален пионер на 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), „Рош“ е потврден како лидер на групацијата во смисла на одржливост, во рамките на индустријата за лекови, биотехнологија и природните науки.

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, Ве молиме посетете ја страницата www.roche.mk.

**MFM-32 е валидирана скала која се употребува за евалуација на фина и груба моторна функција кај лица со невролошки нарушувања, како што е СМА*

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