



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, 15. јуни 2020 година

Рош ги објави 2-годишните податоци за risdiplam од студијата SUNFISH и новите податоци од JEWELFISH кај новороденчиња, деца и возрасни со спинална мускулна атрофија (СМА)

- SUNFISH Дел 1 покажал дека risdiplam значително ја подобрил моторната функција по 24 месеци третман кај луѓе на возраст од 2-25 години со тип 2 или 3 на СМА
- Прелиминарните податоци од 12 месеци од студијата JEWELFISH кај претходно третирани пациенти покажаа брзи и постојани зголемувања на нивото на SMN протеин
- Безбедноста во SUNFISH и JEWELFISH беше во согласност со безбедносниот профил забележан до денес и не биле идентификувани нови безбедносни сигнали

„Рош“ неодамна презентираше две-годишни податоци од Дел 1 од регистрационата студија SUNFISH кај лица на возраст од 2-25 години со тип 2 или 3 на спинална мускулна атрофија (СМА) на виртуелната конференција Cure SMA, која се одржа од 8-12 јуни, 2020 година. Резултатите од експлоративната анализа на ефикасност покажале дека risdiplam значително ја подобрува моторната функција после 24 месеци третман во споредба со податоците од природниот тек на болеста. Дополнително, прелиминарните податоци од 12 месеци од студијата JEWELFISH, истражување кај лица со сите типови на СМА на возраст од 6 месеци до 60 години, кои претходно биле третирани со други лекови за СМА, покажале дека третманот со risdiplam довел до брзо и одржливо зголемување на нивото на SMN протеин. Не се забележани нови безбедносни сигнали и целокупниот профил на несакани реакции бил конзистентен со оној на пациентите кои претходно не примале терапија.

„Овие експлоративни податоци на 24-тиот месец се значајни бидејќи се во согласност со медицински значајните резултати што ги видовме по една година во Дел 2 од студијата SUNFISH, дизајнирана да ја претстави широка популација СМА во секојдневната пракса“, д-р Levi Garraway, Главен медицински директор и Шеф на одделот за развој на производи во „Рош“. „Исто така сме охрабрени дека забележавме зголемување на нивото на SMN протеин и во двете студии SUNFISH Дел 1 и JEWELFISH. Овие податоци го зајакнуваат потенцијалот на risdiplam да направи вистинска разлика во животот на многу луѓе што живеат со СМА.“

SUNFISH е голема (n = 231) глобална студија во два дела кај деца и возрасни. Дел 1 од студијата SUNFISH, кој имал за цел да се одреди дозата (n = 51), вклучил широка популација на пациенти од оние кои не можат да седат до оние кои биле во можност да се движат, како и лица со сколиоза или зглобни контракции.

Истражувачката анализа за ефикасноста во Дел 1 од студијата SUNFISH ја проценувала моторната функција, користејќи ја скалата за мерење на моторната функција (анг. Motor Function Measure, MFM). MFM е валидирана скала што се користи за проценка на фината и бруто-моторната функција кај луѓе со невролошки нарушувања, вклучително и СМА. Проценува различни моторни функции од стоење и одење до употреба на раце и прсти. При споредба на податоците со робустната историска компаративна кохорта, вкупната промена на MFM скалата од почетната вредност на 24-тиот месец била поголема кај пациентите кои примале risdiplam (3,99 поени разлика (95% CI: 2.34, 5.65) p <0.0001). Дури и малите промени во моторната функција можат да резултираат во значителни разлики во секојдневното живеење.

Резултатите, исто така, покажаа дека третманот со risdiplam довел до средно двојно зголемување на нивото на SMN протеин во крвта по четири недели, кое се одржувало во тек на најмалку 24 месеци. Ова е во согласност со претходно пријавените резултати во тек на 12 месеци од третманот. SMN протеинот се наоѓа низ целото тело и игра клучна улога во одржување на здрави моторни неврони, кои пренесуваат сигнални движења од централниот нервен систем до мускулите.

Овие резултати се во согласност со резултатите од Дел 2 од регистрационата студија на 12 месеци кај не-амбулантски пациенти кои покажаа дека промената од почетната вредност во вкупниот резултат на MFM32 е значително повисока кај лица лекувани со risdiplam, во споредба со плацебо (1,55 поени просечна разлика; p = 0.0156).

Најчести несакани реакции во Дел 1 од SUNFISH студијата биле треска (пирексија; 55%), кашлица (35%), повраќање (33%), инфекции на горниот респираторен тракт (31%), настинка (назофарингитис; 24%) и болки во грлото (орофарингеална болка; 22%). Најчеста сериозна несакана реакција која се појавила кај три од 51 пациент кои примале risdiplam била пневмонија. До денес не се појавиле безбедносни наоди поврзани со лекот кои биле причина за повлекување од студијата.

Регрутирањето во студијата JEWELFISH, која има цел да изврши проценка на безбедноста и фармакодинамиката кај претходно третирани пациенти со СМА, кои сега примаат risdiplam, е завршено (n = 174). Кај пациентите кои примале risdiplam во тек на 12 месеци, забележано е средно двојно зголемување на нивото на SMN протеинот наспроти нивото пред започнување на студијата (n = 18). Раната проценка на безбедноста покажала постојан безбедносен профил во споредба со пациентите кои претходно не примале терапија.

Од вклучени 174 пациенти, 76 пациенти претходно примале nusinersen а 14 примале opasemnogene aberavogves. Останатите 83 пациенти биле лекувани со молекули кои претходно биле развиени од страна на Рош.

Најчести несакани реакции била инфекција на горниот респираторен тракт (13%), главоболка (12%), треска (8%), дијареа (8%), назофарингитис (7%) и гадење (7%). До денес не се појавиле нови безбедносни наоди поврзани со лекот кои довеле до повлекување од клиничката студија JEWELFISH и целокупниот профил на несакани дејства е сличен на оној забележан во испитувањата со risdiplam кај пациенти кои претходно не биле лекувани со СМА таргет лекови.

Risdiplam се истражува во широка програма за клиничко испитување во СМА, кај пациенти од раѓање до 60 годишна возраст. Клиничките студии се спроведуваат кај широк спектар на лица кои живеат со оваа болест, со цел да се обезбеди пристап за сите соодветни пациенти. Рош го води клиничкиот развој на risdiplam, истражувачки лек кој се администрира орално, SMN-2 модификатор за врзување (SMN2), како дел од соработката со Foundation SMA и PTC Therapeutics.

Во ноември 2019 година, Администрацијата за храна и лекови (анг. Food and Drug Administration) во САД на лекот risdiplam му додели приоритетен преглед со одлука за негово одобрување до 24. август 2020 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.

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.

Во 2018 година, Европската агенција за лекови (анг. European Medicines Agency, EMA) му додели PRIME ознака на лекот risdiplam и ознака за лек сирак (Orphan Drug) од страна на Администрацијата за храна и лекови во САД во 2017 година. Во меѓувреме, Рош поднесе барање за регистрација во Бразил, Чиле, Кина, Индонезија, Русија, Јужна Кореја и Тајван.

Risdiplam во моментот се испитува во четири мултицентрични студии кај лица со СМА:

- FIREFISH (NCT02913482) - отворена, регистрациона студија во два дела кај доенчиња со СМА тип 1. Дел 1 била студија која ја проценила дозата кај 21 доенче. Примарна цел на Дел 1 била да го процени безбедносниот профил на risdiplam и да ја утврди дозата за Дел 2. Дел 2 е регистрациона студија во една гранка која вклучила 41 доенче со СМА тип 1 кои биле лекувани 24 месеци, па потоа продолжиле во активен продолжеток на студијата. Регрутацијата во Дел 2 била завршена во ноември 2018 година. Примарна цел на Дел 2 е да се процени ефикасноста преку мерење на процентот на доенчиња кои седат без поддршка после 12 месеци од третманот, 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).

- SUNFISH (NCT02908685) - двојно слепа, плацебо-контролирана регистрациона клиничка студија во два дела кај деца и млади лица (од 2-25 години) со СМА тип 2 и 3. Дел 1 (n = 51) ја утврди 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. MFM-32 е валидирана скала која се употребува за проценка на фината и групата моторна функција кај лица со невромускулни нарушувања, вклучително СМА. Студијата ја исполни примарната цел.
- 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 заврши со регрутирање на пациенти (n=174).
- RAINBOWFISH (NCT03779334) - 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 оптичка спектар на нарушувања, Алцхајмерова болест, Хантингтонова болест, Паркинсонова болест, Душенова мускулна дистрофија 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,

антималарици 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 2019 година бројот на вработените беше околу 98.000 луѓе ширум светот. Во 2019 година, „Рош“ инвестираше 11,7 милијарди швајцарски франци во истражување и развој и прикажа продажба од 61,5 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 <https://www.roche.mk/>.

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