



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, 10. август 2020 година

Американската администрација за храна и лекови го одобри risdiplam за третман на спинална мускулна атрофија (СМА) кај возрасни лица и деца на возраст од 2 месеци и постари

- Во две клинички студии, risdiplam ја подобри моторната функција кај лица со СМА со различна возраст и нивоа на сериозност на болеста, вклучително кај тип 1, 2 и 3 на СМА
- Risdiplam им овозможи на новороденчињата да преживеат без потреба од трајна вентилација и да постигнат способност да седат без поддршка, клучна моторна пресвртница која вообичаено не се гледа кај природниот тек на болеста
- Risdiplam е првиот и единствен лек за СМА што може да се земе дома

„Рош“ денес објави дека Администрацијата за храна и лекови на САД (Food and Drug Administration, FDA) го одобрила Evrysdi™ (risdiplam) за третман на спинална мускулна атрофија (СМА) кај возрасни лица и деца на возраст од 2 месеци и постари. Risdiplam покажа клинички значајни подобрувања во моторната функција во две клинички испитувања кај луѓе со различна возраст и нивоа на сериозност на болеста, вклучително и тип 1, 2 и 3 на СМА. Доенчињата ја достигнаа способноста да седат без поддршка најмалку 5 секунди, што е клучна моторна пресвртница која вообичаено не се гледа кај природниот тек на болеста. Risdiplam исто така го подобри преживувањето без потреба од трајна вентилација на 12. и 23. месец, во споредба со природниот тек на болеста. Како лек во течна форма, risdiplam се администрира секој ден дома преку уста или цевка за хранење.

„Со оглед на тоа што мнозинството луѓе со СМА во САД се нелекувани, веруваме дека risdiplam, со неговиот поволен клинички профил и оралната администрација, може да понуди значајни придобивки за многумина кои живеат со оваа ретка невролошка болест“, изјави д-р Levi Garraway, Главен медицински директор и Шеф на одделот за развој на производи во „Рош“. „Силата и решителноста на СМА заедницата постојано нè инспирираа во тек на развојот на овој лек, прв од ваков вид кај СМА, така што денес го славиме нашето колективно остварување заедно со нив.“

РОШ Македонија ДООЕЛ
Скопје

Деловен центар Сити плаза
Ул. Св. Кирил и Методиј 7
1000 Скопје
Р. Северна Македонија

Тел. 02 3103 500
Факс 02 3103 505
www.roche.mk

Risdiplam се истражува кај повеќе од 450 луѓе како дел од голема и робустна програма за клинички развој во СМА. Програмата вклучува доенчиња на возраст од 2 месеци до возрасни лица на возраст од 60 години со различни симптоми и моторна функција, како што се луѓе со сколиоза или зглобни контрактури и оние кои претходно биле третирани со други лекови за СМА. Одобрувањето се заснова на податоците од две клинички студии, дизајнирани да го претстават широкиот спектар на луѓе кои живеат со СМА: FIREFISH кај симптоматски доенчиња на возраст од 2 до 7 месеци; и SUNFISH кај деца и возрасни на возраст од 2 до 25 години. SUNFISH е првото и единствено испитување контролирано со плацебо, кое вклучува возрасни лица со тип 2 и 3 на СМА.

Во студијата FIREFISH, 41% (7/17) од новороденчиња лекувани со терапевтска доза постигнале способност да седат без поддршка најмалку 5 секунди, измерено со Bayley Scales of Infant and Toddler Development Third Edition (BSID-III). Покрај тоа, 90% (19/21) од новороденчињата биле живи без потреба од трајна вентилација на 12-от месец од третманот и достигнале 15 месечна возраст или повеќе. Како што е опишано во природниот тек на болеста, кај нелекуваните деца кои имаат симптоми на СМА рано после раѓањето, од новороденчињата не се очекува да можат да седат самостојно, а само 25% се очекува да преживеат без трајна вентилација над 14 месечна возраст. Во студијата SUNFISH, децата и возрасните лекувани со risdiplam, забележале клинички значајно и статистички значајно подобрување на моторната функција на 12-от месец (1,55 поени просечна разлика; $p = 0.0156$) во споредба со плацебо (1,36 поени [95% CI: 0,61, 2,11]); -0,19 поени [95% CI: -1,22, 0,84], соодветно), мерено како промена од почетната точка на Motor Function Measure-32 (MFM-32) скалата.

Risdiplam покажа поволен профил на ефикасност и безбедност, при што безбедносниот профил е воспоставен во тек на две клинички студии, FIREFISH и SUNFISH. Најчестите несакани реакции биле треска, дијареа и исип кај лица кај кои СМА е дијагностицирана во подоцнежните години. Кај лицата кај кои СМА е дијагностицирана во раните години, најчестите несакани реакции биле слични и вклучувале и инфекции на горниот респираторен тракт, пневмонија, запек и повраќање. Не се пријавени безбедносни наоди поврзани со третманот кои доведе до повлекување од било која студија.

„За време на нивниот живот, многу луѓе со СМА можат да ја изгубат способноста да изведуваат важни движења, кое може да влијае на можноста за самостојно учество во сите аспекти на секојдневниот живот, па дури и да го промени животот“, изјави Kenneth Hobby, претседател на Cure SMA. „Одобрувањето на risdiplam се чекаше со нетрпение за нашата заедница. Ние ја цениме заложбата на „Рош“ да вклучи лица со СМА со различна возраст и нивоа на сериозност на болеста, како во секојдневната пракса, во нивната програма за клиничко испитување и развој на третман што може да се спроведува дома“.

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

За risdiplam

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

Во 2018 година, Европската агенција за лекови (анг. European Medicines Agency, EMA) му додели PRIME (PRiority MEDicines) ознака на лекот risdiplam и ознака за лек сирак (Orphan Drug) од страна на EMA и Администрацијата за храна и лекови во САД во 2017 и 2019 година, соодветно. Во меѓувреме, Рош поднесе барање за регистрација во Бразил, Чиле, Кина, Индонезија, Русија, Јужна Кореја и Тајван. Поднесувањето на апликацијата за доделување на маркетинг авторизација до Европската агенција за лекови (анг. European Medicines Agency, EMA) е неминовно.

За регистрационите студии

FIREFISH (NCT02913482)

FIREFISH 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 тип 1 на СМА. Дел 1 од студијата проценувал неколку дози на risdiplam и ја потврдил терапевтската доза од 0,2 mg/kg која понатаму се испитувала во Делот 2 од студијата. Во Дел 1, после 12 месеци третман со risdiplam:

- 41% (7/17) од новороденчиња лекувани со терапевтска доза постигнале способност да седат без поддршка најмалку 5 секунди, мерено според бруто-моторната скала BSID-III.
- 90% (19/21) од сите новороденчиња биле живи без потреба од трајна вентилација* и достигнале возраст од 15 месеци или повеќе.
- 81% (17/21) од сите пациенти биле живи без потреба од трајна вентилација* после најмалку 23 месеци после започнување со третман и достигнале возраст од 28 месеци или постари (средна возраст од 32 месеци; опсег од 28 до 45 месеци).

* Трајна вентилација е дефинирана како трахеостомија или ≥ 16 часа неинвазивна вентилација на ден или интубација во тек на ≥ 21 последователни денови во отсуство на, или по разрешување на, акутен реверзибилен настан.

SUNFISH (NCT02908685)

SUNFISH е плацебо-контролирана, мултицентрична регистрациона студија во два дела, која била дизајнирана да ја испита безбедноста, толерабилноста, ефикасноста, фармакокинетиката и фармакодинамиката кај пациенти со тип 2 или 3 на СМА на возраст од 2 до 25 години, вклучително со сколиоза (67% во Дел 2) и зглобни контрактури на почеток на студијата. Во Дел 2, после 12 месеци, третманот со risdiplam довел до:

- клинички значајно и статистички значајно подобрување на моторната функција кај деца и возрасни, мерено како промена од почетната вредност во MFM-32 скалата (средна разлика од 1,55 поени; $p = 0.0156$), на 12 месеци во споредба со плацебо (1,36 поени [95% CI: 0,61, 2,11]; -0,19 поени [95% CI: 1,22, 0,84], соодветно). MFM-32 проценува 32 различни моторни функции кај широк спектар на луѓе со SMA.
- подобрена моторна функција на горните екстремитети во споредба со почетната вредност, мерено според Revised Upper Limb Module (RULM), секундарна независна крајна цел на моторната функција во студијата (разлика од 1,59 поени; $p = 0.0028$).

Безбедносни податоци од регистрационите студии

Безбедносниот профил на risdiplam е основан во тек на регистрационите студии FIREFISH и SUNFISH. Најчестите несакани реакции кај лицата кај кои СМА е дијагностицирана во подоцнежните години (инциденца на најмалку 10% од пациентите третирани со risdiplam и почесто од контролата) биле треска, дијареа и осип. Најчестите несакани реакции кај лицата кај кои СМА е дијагностицирана во раните години биле слични на оние забележани кај пациентите кои биле дијагностицирани со СМА во подоцнежните години. Покрај тоа, најчестите несакани реакции (инциденца од најмалку 10%) биле инфекција на горниот респираторен тракт, пневмонија, опстипација и повраќање.

За програмата за клинички развој на risdiplam

Покрај FIREFISH и SUNFISH, risdiplam се истражува во широк спектар на луѓе со СМА, вклучително и во:

- 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 risdiplam. 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 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, неуромиелитис оптика спектар на нарушувања, Алцхајмерова болест, Хантингтонова болест, Паркинсонова болест, Душенова мускулна дистрофија и аутизам спектар на нарушувања. Заедно со нашите партнери, ние сме посветени да ги туркаме 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. 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 www.roche.mk.

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