



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, 28. април 2020 година

Лекот risdiplam покажал значително подобрување во преживувањето и исполнување на моторните пресвртници кај новороденчиња со спинална мускулна атрофија тип 1

- Студијата FIREFISH, Дел 2, ја исполнила својата примарна цел и покажала значително зголемување на моторните пресвртници кај новороденчиња на возраст од 1-7 месеци по 12 месеци од третманот
- Големата, регистрациона глобална студија ја потврдила клинички значајната ефикасност која е видена во Дел 1 од студијата
- Безбедноста била во согласност со безбедносниот профил забележан до денес и не биле идентификувани нови безбедносни сигнали

„Рош“ денес презентираше едногодишни податоци од Дел 2 од студијата FIREFISH, регистрациона глобална студија која го испитува risdiplam кај новороденчиња на возраст од 1 - 7 месеци со симптоматска спинална мускулна атрофија (СМА) тип 1. Студијата ја исполнила својата примарна цел каде 29% од новороденчињата (12/41; $p < 0.0001$) седеле без поддршка пет секунди по 12 месеци третман, оценето со помош на Gross Motor Scale of the Bayley Scales of Infant and Toddler Development Third Edition (BSID-III). Досега, ниту едно новороденче со СМА тип 1 не ја достигнало оваа пресвртница во природниот тек на болеста. Покрај тоа, 18 (43,9%) новороденчиња биле во можност да ја држат главата исправено, 13 (31,7%) можеле да се превртат на страна, а 2 (4,9%) новороденчиња можеле да стојат со поддршка, мерено според Hammersmith Infant Neurological Examination 2 (HINE-2). Безбедноста на risdiplam во студијата FIREFISH била во согласност со неговиот познат безбедносен профил.

„Овие резултати ја потврдуваат клинички значајната ефикасност на risdiplam кај новороденчиња со напредна болест која тешко се лекува“, изјави д-р Levi Garraway, Главен медицински директор и Шеф на одделот за развој на производи во „Рош“.

„Им се заблагодаруваме на СМА заедницата за нивното партнерство и особено на 62. семејства од целиот свет кои учествуваа во Делот 1 и 2 од студијата FIREFISH“. Податоците беа прифатени и ќе бидат достапни преку виртуелна презентација на 72. Годишен состанок на Американската академија за неврологија (анг. American Academy of Neurology Annual Meeting) во наредните недели. Рош го води клиничкиот развој на risdiplam, истражувачки, орално администриран модификатор на врзување на моторниот неврон-2 (SMN2) за преживување за СМА, како дел од соработката со Foundation SMA и PTC Therapeutics.

За време на анализата, средното времетраење на третманот било 15,2 месеци, а средната возраст била 20,7 месеци. Деведесет и три проценти (38/41) од новороденчињата биле живи и 85,4% (35/41) биле без настани. Без третман, средната возраст на смрт или потреба од постојана вентилација била 13,5 месеци во кохортата со природен тек на болеста. Три доенчиња доживеале фатални компликации на нивната болест во првите три месеци од третманот. Ниту еден од истражувачите тоа не го припишало како поврзано со risdiplam. Деведесет проценти (37/41) имале зголемување на скорот на CHOP-INTEND* од најмалку 4 поени, каде 56% (23/41) постигнале скор над 40; просечното зголемување било 20 поени. Без третман, новороденчињата со СМА тип 1 покажуваат намалување на скоровите на CHOP-INTEND со тек на време.

Во истражувачка крајна цел, 95% од новороденчињата кои биле живи на 12 месеци (36/38) ја одржувале можноста за голтање, а 89% (34/38) биле во можност да се хранат орално. Спротивно на тоа, во кохортата со природен тек на болеста, сите новороденчиња со СМА тип 1 постари од 12 месеци имале потреба од поддршка при хранење.

„Овие резултати се особено охрабрувачки со оглед на тоа што просечната возраст на пациентите при вклучување во студијата била 5,3 месеци, што значи дека овие новороденчиња веќе имале напредната болест“, изјави професор д-р Laurent Servais, истражувач во FIREFISH и професор по педијатриски невромускулни болести во MDUK Oxford Neuromuscular Centre. „Одржувањето на можноста за голтање е особено важно затоа што им помага на новороденчињата да се хранат и сугерира дека risdiplam има голем ефект врз булбарната функција.“

Безбедноста за risdiplam во студијата FIREFISH беше во согласност со неговиот познат безбедносен профил и не беа идентификувани нови безбедносни сигнали. Најчести несакани реакции била инфекција на горниот респираторен тракт (46,3%), пневмонија (39%), пирексија (39%), пирексија (39%), констипација (19,5%), назофарингитис (12,2%), ринитис (12,2%) и дијареа (9,8%). Најчести сериозни несакани реакции биле пневмонија (31,7%), бронхиолитис (4,9%) респираторна инсуфициенција (4,9%) и хипотонија (4,9%).

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.

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 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. 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 оптика 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, 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.

*Children’s Hospital of Philadelphia Infant Test of Neuromuscular Disorders