



Соопштение

РОШ Македонија ДООЕЛ СКОПЈЕ
Бизнис Центар Настел
ул. Максим Горки бр. 13
1000 Скопје, Република Северна Македонија
Тел. 02 3103 500
www.roche.mk

Скопје, 09. август 2021 година

Податоците за Evrysdi® (risdiplam)†, објавени во списанието New England Journal of Medicine, покажуваат значително подобрување во преживувањето и моторните пресвртници кај бебиња со тип 1 на спинална мускулна атрофија

- Дел 2 од студијата FIREFISH покажал дека третманот со Evrysdi им помогнал на бебињата да живеат без потреба од постојана вентилација, да седат без поддршка и да им се подобрат голем број на моторни пресвртници
- Evrysdi има докажана ефикасност кај возрасни, деца и бебиња на возраст од два месеци и постари, и досега се лекувани повеќе од 4 000 пациенти
- СМА е водечка генетска причина за смрт кај доенчиња

„Рош“ неодамна објави дека во New England Journal of Medicine (NEJM) се објавени податоци од FIREFISH Дел 2, регистрациона глобална студија која ја проценува ефикасноста и безбедноста на Evrysdi (risdiplam) кај бебиња на возраст од 1-7 месеци со симптоматска спинална мускулна атрофија (СМА) од тип 1. Студијата ја исполнила својата примарна крајна цел со тоа што 29% од доенчињата (12/41) седеле без поддршка најмалку пет секунди* на 12-от месец, моторна пресвртница која не се забележува кај природниот тек на болеста. Безбедноста за Evrysdi во студијата FIREFISH Дел 2 беше во согласност со неговиот познат безбедносен профил.

„Без третман, бебињата со СМА тип 1 најверојатно нема да преживеат повеќе од две години“, изјави проф. д-р Лорен Серве, истражувач во студијата FIREFISH, професор по детски невромускулни заболувања во MDUK Oxford Neuromuscular Centre, Оксфорд, Велика Британија. „Важните моторни пресвртници, како што се седење, превртување и голтање, се основните работи кои можат да им помогнат на овие бебиња да постигнат оптимални резултати со Evrysdi, потенцијално да ја намалат потребата од помош при вентилација и да ја зголемат стапката на преживување“.

Во времето на анализата на податоците, просечното времетраење на третманот со Evrysdi бил 15,2 месеци, а средната возраст на пациентите била 20,7 месеци. На 12-от месец, 93% (38/41) од доенчињата биле живи, а 85% (35/41) немале потреба од трајна вентилација. Без третман, просечната возраст на пациентите при смрт или потреба од трајна вентилација

била 13,5 месеци во групата на пациенти со природен тек на болеста. Деведесет проценти (37/41) имале зголемување на резултатот на CHOP-INTEND** од најмалку 4 поени, при што 56% (23/41) постигнале резултат над 40; додека средното зголемување било 20 поени.

Дополнително, студијата ја исполнила и една од нејзините секундарни крајни цели, 78% (32/41) од доенчињата биле класифицирани како испитаници со одговор на HINE-2***, проценка на моторната функција преку контрола на глава, седење, доброволно сфаќање, способност за удар, тркалање, ползење, стоење и одење. Доенчиња се класифицираат како испитаници со одговор на HINE-2 ако покажале подобрување на повеќе моторни пресвртници отколку нивно влошување.

„Овие податоци објавени во New England Journal of Medicine ги потврдуваат резултатите од Дел 1 од студијата FIREFISH, кои покажаа дека Evrysdi може да им помогне на бебињата со СМА да ја достигнат значајната пресвртница, како седењето без поддршка во тек на најмалку пет секунди“, изјави д-р Levi Garraway, Главен медицински директор и Шеф на одделот за развој на производи во „Рош“. „Овие резултати се дополнително потврдени со неодамна презентирани податоци на 24-от месец, кои покажуваат дека Evrysdi продолжува да ја подобрува моторната функција, двојно зголемувајќи го бројот на бебиња кои можат да седат без поддршка на 12-от месец. Ние продолжуваме тесно да соработуваме со властите и заедницата на СМА за да го овозможиме пристап до Evrysdi на што е можно повеќе лица“.

Безбедноста за Evrysdi во Дел 2 од студијата FIREFISH била во согласност со неговиот познат безбедносен профил. Најчестите несакани реакции биле инфекција на горниот респираторен тракт (68%), пневмонија (39%), пирексија (39%), запек (20%), дијареа (10%) и макулопапуларен осип (10%). Најчестите сериозни несакани реакции биле пневмонија (32%), бронхиолитис (5%), хипотонија (5%) и респираторна инсуфициенција (5%). Три доенчиња доживеале фатални компликации од нивната болест во првите три месеци од третманот. Според истражувачот, ниту едно од овие не било поврзано со Evrysdi.

Во февруари 2021 година, резултатите од Дел 1 од студијата FIREFISH беа објавени во NEJM.

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

*оценето според Gross Motor Scale of the Bayley Scales of Infant and Toddler Development Third Edition (BSID-III)

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

***Hammersmith Infant Neurological Examination 2

3а Evrysdi (risdiplam)

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

Evrysdi 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.

Evrysdi добил ознака за лек-сирак од Европската агенција за лекови (EMA) во 2019 година, PRIME ознака од EMA во 2018 година и ознака за лек-сирак од Американската

Администрација за храна и лекови во 2017 година. Evrysdi е одобрен во Република Северна Македонија како и во повеќе од 53 земји ширум светот, а неговата регистрација се разгледува во повеќе од 33 земји.

Во моментот Evrysdi се истражува во четири мултицентрични студии кај лица со СМА:

- **FIREFISH (NCT02913482)** 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 СМА тип 1. Дел 1 од студијата проценувал неколку дози на risdiplam и ја потврдил терапевтската доза која понатаму се испитувала во Дел 2 од студијата. Дел 2 е регистрациона студија со една гранка на risdiplam кај 41 новороденче со СМА тип 1 во тек на 2 години, проследено со активен продолжеток на студијата. Регулацијата на пациенти во Дел 2 заврши во ноември 2018 година. Основната цел на Дел 2 беше да се процени ефикасноста, оценета како процент на доенчиња кои седат без поддршка по 12 месеци третман, измерена со Gross Motor Scale of the Bayley Scales of Infant and Toddler Development – Third Edition (BSID-III) (дефинирано како седење без поддршка во тек на 5 секунди). Студијата ја исполни својата примарна клучна цел.
- **SUNFISH (NCT02908685)** е двојно слепа, плацебо-контролирана, регистрациона студија во два дела, која била дизајнирана да ја испита безбедноста, толерабилноста, ефикасноста, фармакокинетиката и фармакодинамиката кај пациенти со СМА тип 2 или 3 на возраст од 2 до 25 години. Дел 1 (n = 51) ја одредил дозата за Дел 2. Дел 2 (n = 180) ја оценил моторната функција користејќи го вкупниот резултат на Motor Function Measure 32 (MFM-32) на 12-от месец. MFM-32 е валидирана скала што се користи за проценка на фината и бруто моторната функција кај луѓе со невролошки нарушувања, вклучително и СМА. Студијата ја исполни својата примарна клучна цел.
- **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 Evrysdi. Оваа студија заврши со регрутирање на пациенти (n=174).
- **RAINBOWFISH (NCT03779334)**: отворена, мултицентрична студија со 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

РОШ Македонија ДООЕЛ
Скопје

Бизнис центар Настел
ул. Максим Горки бр. 13
1000 Скопје
Р. Северна Македонија

Тел. 02 3103 500
www.roche.mk

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, нарушувања на спектарот на оптички невромиеелитис, Алцхајмерова болест, Хантингтонова болест, Паркинсонова болест, Душенова мускулна дистрофија и нарушувања на аутистичкиот спектар. Заедно со нашите партнери, ние сме посветени да ги надминеме 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. Последниве години, Рош инвестираше во геномско профилирање и партнерства за податоци од реалниот свет и стана водечки партнер во индустријата за медицински сознанија.

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. Покрај тоа, дванаесетта година по ред, Рош е призната како една од најодржливите компании во фармацевтската индустрија во Индексите за одржливост на Dow Jones (DJSI).

Групацијата „Рош“ со седиште во Базел, Швајцарија, е активна во повеќе од 100 земји. Во 2020 година бројот на вработените беше повеќе од 100.000 луѓе ширум светот. Во 2020 година, „Рош“ инвестираше 12,2 милијарди швајцарски франци во истражување и развој и прикажа продажба од 58,3 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.

Референца:

1. Darras B.T. *et al.* Risdiplam-Treated Infants with Type 1 Spinal Muscular Atrophy versus Historical Controls, *N Engl J Med* 2021; 385:427-435.

▼Овој лек подлежи на дополнителен мониторинг кој ќе придонесе за идентификација на нови информации за безбедноста на лекот. Здравствените работници се замолуваат да ги пријавуваат сите сомнителни несакани реакции.

Наменето само за здравствени работници