



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, 2. октомври 2020 година

Рош презентираше нови 2-годишни податоци за лекот risdiplam во третман на доенчиња со тип 1 на спинална мускулна атрофија (СМА)

- податоците за ефикасност покажаа дека 88% од доенчињата лекувани со risdiplam биле живи и немале потреба од трајна вентилација две години по започнување на третманот
- 59% од доенчињата можеле да седат без поддршка во тек на најмалку 5 секунди
- не биле идентификувани нови безбедносни сигнали
- во август, Администрацијата за храна и лекови во САД го одобри risdiplam за третман на СМА кај возрасни лица и деца на возраст од 2 месеци и постари

„Рош“ неодамна ги објави новите 2-годишни податоци од Дел 1 од регистрационата студија FIREFISH за risdiplam кај доенчиња на возраст од 2-7 месеци со симптоматски тип 1 на спинална мускулна атрофија (СМА). Резултатите после 2 години на третман кај доенчиња лекувани со терапевтска доза на risdiplam (17/21) покажале дека тие продолжуваат да ги подобруваат и постигнуваат моторните пресвртници.

Оваа истражувачка анализа покажа дека околу 88% од доенчињата биле живи и немале потреба од трајна вентилација на две години по започнување на третманот. Покрај тоа, на две години, 59% (10/17 наспроти 7/17 на 1 година) од доенчињата можеле да седат без поддршка во тек на најмалку 5 секунди, оценето според Gross Motor Scale of the Bayley Scales of Infant and Toddler Development – Third Edition (BSID-III). Шеесет и пет проценти (11/17 наспроти 9/17 на првата година) имале контрола на главата, 29% (5/17 наспроти 2/17 на 1 година) можеле да се превртат и 30% (5/17 наспроти 1/17 на првата година) биле во можност да стојат со или без поддршка. По двегодишно лекување со risdiplam, 71% (12/17 наспроти 10/17 на 1 година) од доенчињата постигнале CHOP-INTEND* скор од 40 или повеќе поени и сите доенчиња го зголемиле својот резултат од 12-от до 24-от месец. Сите доенчиња кои биле живи на втората година (n=14), ја задржале способноста за голтање и 93% (13/14) биле во можност да се хранат по орален пат. Безбедноста на risdiplam во студијата FIREFISH била во согласност со неговиот претходно пријавен безбедносен профил и не биле идентификувани нови безбедносни сигнали. Најчестите несакани реакции (n=21) вклучуваат треска (пирексија; 71%), инфекција на горниот респираторен тракт (52%),

кашлица (33%), повраќање (33%), дијареја (29%) и инфекција на респираторниот тракт (29%). Најсериозен несакан настан што се случил кај 24% од доенчињата бил пневмонија.

„Многу сме охрабрани од резултатите што ги гледаме во втората година од третманот со risdiplam“, изјави д-р Levi Garraway, Главен медицински директор и Шеф на одделот за развој на производи во „Рош“. „Овие резултати се базираат на ефикасноста и безбедноста демонстрирана од страна на risdiplam во регистрационите студии и ние со нетрпение очекуваме да продолжиме со оценките за влијанието врз преживувањето и врз моторната функција за долг временски период на следење на овој прв од ваков вид третман“.

За време на анализата, најмладото доенче било 28,4 месеци, а најстарото 45,1 месеци. Средната возраст при вклучување во студијата била 6,3 месеци. Од 17 доенчиња лекувани со терапевтска доза, две доживеале фатални компликации од нивната болест на 8 и 13 месеци од третманот а едно доенче било повлечено од студијата и за жал починало 3,5 месеци подоцна. Според истражувачите, ниту еден од гореспоменатите настани не биле поврзани со третманот со risdiplam.

Овие податоци биле презентирани за време на виртуелниот 25-ти International Annual Congress of the World Muscle Society.

Risdiplam се истражува кај повеќе од 450 луѓе како дел од широка и робусна програма за клиничко испитување во СМА, кај пациенти од раѓање до 60 години и вклучува пре-симптоматски пациенти и оние кои претходно биле третирани со други СМА-таргет лекови. Risdiplam е дизајниран за третман на СМА преку зголемување и одржување на производството на протеинот за преживување на моторниот неврон (анг. survival of motor neuron, SMN). SMN протеинот се наоѓа низ целото тело и е клучен за одржување на здрави моторни неврони и движење. Рош го води клиничкиот развој на risdiplam како дел од соработката со SMA Foundation и PTC Therapeutics.

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

3a 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 август, Администрацијата за храна и лекови во САД го одобри risdiplam за третман на СМА кај возрасни лица и деца на возраст од 2 месеци и постари. Во 2018 година, Европската агенција за лекови (анг. European Medicines Agency, EMA) му додели PRIME (Priority Medicines) ознака на 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 16 земји: Австралија, Бразил, Чиле, Индија, Индонезија, Израел, Кувајт, Северна Македонија, Малезија, Русија, Сингапур, Јужна Кореја, Тајван, Тајланд, Украина и Обединетите Арапски Емирати. Покрај тоа, четири регулаторни власти ширум светот во моментот ја разгледуваат апликацијата: Канада, Кина, ЕУ и Швајцарија.

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

- FIREFISH (NCT02913482): отворена, регистрациона, клиничка студија во два дела кај доенчиња со тип 1 на СМА. Дел 1 од студијата ја проценувала дозата кај 21 новороденче со примарна цел да се процени безбедносниот профил на risdiplam кај доенчиња и да се утврди дозата за Дел 2. Дел 2 е регистрациона студија со една гранка на risdiplam кај 41 новороденче со тип 1 на СМА лекувани во тек на 2 години,

проследено со отворен продолжеток на студијата. Регрутирањето на нови пациенти за Дел 2 заврши во ноември 2018 година. Примарната цел на Дел 2 беше да се процени ефикасноста, мерена како процент на доенчиња што седат без поддршка по 12 месеци на третман, оценето според 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 исполнила својата примарна клучна цел.

- SUNFISH (NCT02908685): плацебо-контролирана, мултицентрична регистрациона студија во два дела, кај пациенти на возраст од 2-25 години со тип 2 или 3 на СМА. Дел 1 (n = 51) од студијата ја одредил дозата за Дел 2. Дел 2 (n = 180) ја проценува моторната функција користејќи го вкупниот скор 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 исполнила 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 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.