

Обращение компании ROCHE к сообществу СМА с текущей информацией по статусу исследуемых препаратов для лечения спинальной мышечной атрофии.

20 марта 2017 г.

Дорогие члены сообщества СМА,

В компании Рош мы привержены реагированию на срочные потребности людей, живущих со СМА. Мы рады поделиться новой информацией о 2 пероральных препаратах, находящихся на стадии разработки, олезоксиме и RG7916, и о трех стадиях исследования RG7916, в которые в настоящее время идет набор пациентов – SUNFISH (типы 2 и 3), FIREFISH (тип 1) и JEWELFISH (пациенты с типов 2/3, уже получавшие лечение другими модификаторами сплайсинга).

Олезоксим

- Олезоксим является веществом, назначаемым перорально для поддержания функции митохондрий и поддержки и продления функционирования клеток
- Европейское Медицинское Агентство (EMA) и Американская Администрация по контролю лекарственных средств и продуктов питания (FDA) запросили дополнительные данные по соотношению преимуществ и рисков применения препарата в исследованиях фазы 3
- Мы учли обратную связь EMA и FDA и планируем проведение дополнительно исследования олезоксима в фазе 3. Мы проинформируем вас о ходе подготовки в ближайшие месяцы

RG7916

- RG7916 является модификатором сплайсинга SMN2, назначаемым перорально и распределяющимся по всему телу
- Препарат находится в стадии клинических испытаний, проводимых совместно с компанией PTC Therapeutics и SMA Foundation
- RG7916 получил в FDA статус препарата для лечения редких заболеваний (Orphan Drug Designation)

В какие клинические испытания RG7916 идет набор пациентов в настоящее время?

- В настоящее время идет набор пациентов в 3 клинических испытания препарата RG7916: SUNFISH, FIREFISH и JEWELFISH
- Для включения в любые испытания RG7916 потенциальные участники должны соответствовать всем критериям включения

SUNFISH

- **Задача:** Оценить эффективность и безопасность использования RG7916 у пациентов со СМА типов 2 и 3
 - На этапе 1 будет оцениваться безопасность и переносимость 2 различных доз RG7916
 - На этапе 2 будет оцениваться эффективность и безопасность RG7916 в выбранной на этапе 1 дозировке
- **Кто может быть включен?** Дети и молодые взрослые (2-25 лет) со СМА типов 2 и 3*
- **Дизайн исследования:** исследование SUNFISH состоит из 2 этапов



- **Текущий статус:** Запланированный набор 10 взрослых и подростков (Группа А) и 9 детей (Группа В)*** на Этап 1 Дозировка 1 (низкая доза) исследования RG7916 завершен. Набор на Этап 1 Дозировка 2 (высокая доза) в настоящее время продолжается.
- **Оценка безопасности:** Безопасность участников испытаний является нашим приоритетом. Как запланировано в протоколе исследования, Комитет мониторинга безопасности рассматривает всю информацию, имеющую отношение к безопасности, от всех участников исследования SUNFISH. После оценки информации о безопасности, полученной после применения низкой дозы, назначенной Группе В на Этапе 1, Комитет разрешил продолжить исследование в соответствии с планом
- **Дальнейшие шаги:** начало Этапа 2 планируется на вторую половину 2017 года, на этом этапе будут включены дополнительные клиники и страны

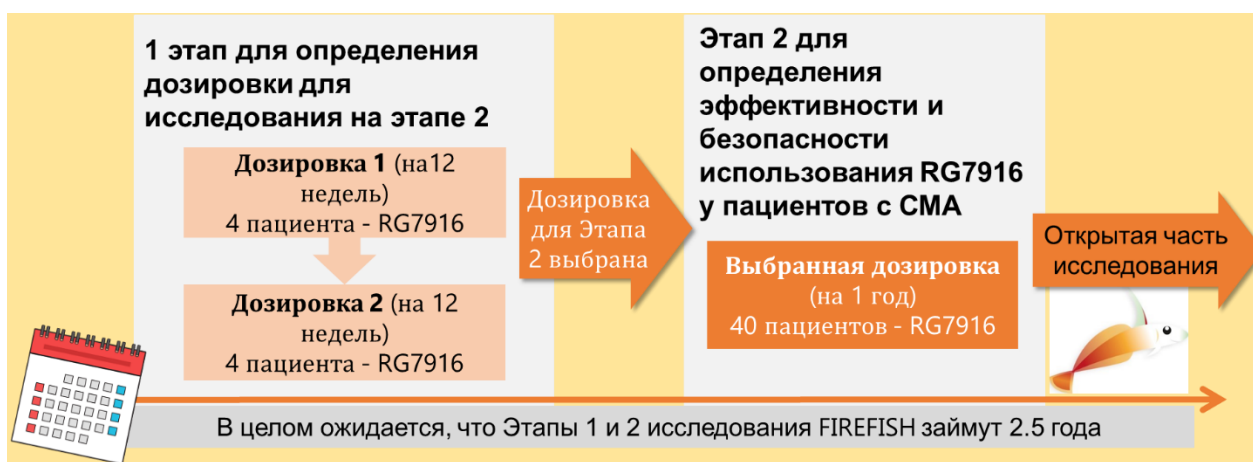
*Потенциальные участники должны соответствовать всем критериям включения прежде чем быть допущенными к исследованию SUNFISH

** Доработанный протокол ожидает утверждения регулирующими органами

*** Может быть проведен дополнительный набор участников в Этап 1 Дозировку 1 Группу В

FIREFISH

- **Задача:** Оценить эффективность и безопасность использования RG7916 у детей от 1 до 7 месяцев с СМА типа 1
 - На этапе 1 будет оцениваться эффективность и безопасность RG7916 в 2 различных дозировках
 - На этапе 2 будет оцениваться эффективность и безопасность RG7916 в выбранной на этапе 1 дозировке
- **Кто может быть включен?** Дети от 1 до 7 месяцев с СМА типа 1*
- **Дизайн исследования:** исследование SUNFISH состоит из 2 этапов



- **Текущий статус:** Первый ребенок был включен в исследование в декабре 2016 года, исследование продолжается в Европе. Этап 1 исследования FIREFISH будет начат в дополнительных странах и клиниках, включая США, в течение ближайших месяцев.
- **Оценка безопасности:** Безопасность участников испытаний является нашим приоритетом. Как запланировано в протоколе исследования, Комитет мониторинга безопасности рассматривает всю информацию, имеющую отношение к безопасности, от всех участников исследования FIREFISH.
- **Дальнейшие шаги:** начало Этапа 2 планируется на вторую половину 2017 года, на этом этапе будут включены дополнительные клиники и страны

*Потенциальные участники должны соответствовать всем критериям включения прежде чем быть допущенными к исследованию FIREFISH

JEWELFISH

- **Задача:** Оценить безопасность и переносимость использования RG7916
- **Кто может быть включен?** Пациенты с СМА, ранее получавшие терапию, направленную на SMN2 (либо в рамках исследования MOONFISH с RG7800, либо с другим препаратом, направленным на SMN2)



Одна дозировка (на 2 года)
24 пациента - RG7916



Ожидается, что исследование JEWELFISH займет 2 года

- **Текущий статус:** Первый пациент получил первую дозу в клинике в США
- **Оценка безопасности:** Безопасность участников испытаний является нашим приоритетом. Как запланировано в протоколе исследования, Комитет мониторинга безопасности рассматривает всю информацию, имеющую отношение к безопасности, от всех участников исследования JEWELFISH.
- **Дальнейшие шаги:** запланировано продолжение скрининга и включения пациентов в клиниках США и Европы

*Потенциальные участники должны соответствовать всем критериям включения прежде чем быть допущенными к исследованию JEWELFISH

Как могу я или член моей семьи узнать, каким образом стать участником исследований SUNFISH, FIREFISH или JEWELFISH?

- Пожалуйста, обратитесь к своему врачу или в пациентскую организацию, если Вы считаете, что Вы или член Вашей семьи мог бы стать участником одного из этих исследований
 - Вы можете также посетить сайт www. Roche-sma-clinicaltrials.com, где имеется больше информации о нашей программе
 - Локальное объединение пациентов в месте Вашего проживания может иметь больше информации и ресурсов

Как мне получить больше информации?

- Вы можете узнать больше об исследованиях SUNFISH, FIREFISH или JEWELFISH на сайте www.clinicaltrials.gov и www.clinicaltrialsregister.eu
- Мы будем продолжать делиться новостями о наших исследованиях

С уважением,

Roche Pharma Research & Early Development

Roche Innovation Centre Basel, Switzerland