



Исх.№ 10-МО-СЕ от 11.09.2020

Благотворительному фонду «Семьи СМА»

115408 Россия, Москва, ул. Борисовские пруды, 48-2-221

Уважаемая Ольга Юрьевна!

АО «Рош-Москва» выражает Вам свое почтение и в ответ на Ваш запрос № 126 от 01.08.2020 г. относительно предоставлении информации о дальнейшем обеспечении российских пациентов-участников программ клинических исследований препаратом Рисдиплам, сообщает следующее.

В соответствии с текущей версией протокола клинического исследования «Многоцентровое рандомизированное плацебо контролируемое двойное слепое исследование, разделенное на 2 части с непосредственным переходом одной в другую для оценки безопасности, переносимости, фармакокинетики, фармакодинамики и эффективности препарата RO7034067 у пациентов со спинальной мышечной атрофией типа 2 и 3», номер протокола **BP39055 (Sunfish)**, после завершения 24-месячного лечения все пациенты будут переходить в открытую расширенную фазу, которая продлится еще 3 года.

В соответствии с новой версией протокола клинического исследования «Открытое многоцентровое исследование, разделенное на 2 части с непосредственным переходом одной в другую, для оценки безопасности, переносимости, фармакокинетики, фармакодинамики и эффективности препарата рисдиплам (RO7034067) у младенцев со спинальной мышечной атрофией типа 1», номер протокола **BP39056 (Firefish)**, которая должна вступить в силу в октябре-ноябре 2020 года, после завершения 24-месячного периода лечения пациенты будут переходить в открытую расширенную фазу, которая продлится еще 3 года.

В соответствии с текущей версией протокола клинического исследования «Открытое исследование рисдиплама у младенцев с генетически диагностированной и пресимптоматической спинальной мышечной атрофией», номер протокола **BN40703 (Rainbowfish)**, после завершения 24-месячного периода лечения пациенты будут переходить в открытую расширенную фазу, которая продлится еще как минимум 3 года.

После завершения участия в 3-летней открытой расширенной фазе вышеуказанных клинических исследованиях пациент может продолжить лечение препаратом рисдиплам по программе продленного доступа по решению лечащего врача при соблюдении следующих условий:

АО «Рош-Москва»

107031, Россия, г. Москва
Трубная площадь, дом 2
МФК «Галерея Неглинная»

Тел.: +7 (495) 229 29 99
Факс: +7 (495) 229 79 99
www.roche.ru

“Roche-Moscow” Jsc

MFC “Neglinnaya Gallery”
2, Trubnaya Square
107031 Moscow, Russia

Tel.: +7 (495) 229 29 99
Fax: +7 (495) 229 79 99
www.roche.ru



- у пациента имеет место угрожающее жизни или тяжелое медицинское состояние, и для его/ее благополучия требуется продолжение лечения исследуемым препаратом;
- соответствующие альтернативные варианты лечения для пациента отсутствуют;
- пациент и его/ее врач соответствуют и удовлетворяют любым юридическим или регуляторным требованиям, которые к ним применимы.

Пациент не сможет получать исследуемый препарат после завершения исследования, если будет соблюдено любое из перечисленных ниже условий:

- исследуемый препарат имеется в коммерческой продаже в стране пациента; пациент имеет обоснованный доступ к препарату (например, затраты на препарат покрываются медицинской страховкой пациента, либо покупка препарата не будет являться финансовым бременем для пациента);
- спонсор прекратил разработку исследуемого препарата, либо получены данные, которые показали, что исследуемый препарат неэффективен для лечения СМА;
- спонсор имеет обоснованные опасения в отношении безопасности применения исследуемого препарата для лечения СМА;
- предоставление исследуемого препарата не разрешается в соответствии с законами и правилами государства пациента.

Таким образом, общая продолжительность лечения пациентов в рамках клинических исследований может составить 5 лет с возможностью продолжения лечения препаратом ридиплам по программе продленного доступа.

Глобальная политика компании «Рош» в отношении продленного доступа к исследуемому медицинскому препарату представлена на сайте: http://www.roche.com/policy_continued_access_to_investigational_medicines.pdf

С наилучшими пожеланиями,

Екатерина Фадеева

Руководитель медицинского отдела АО «Рош-Москва»

АО «Рош-Москва»

107031, Россия, г. Москва
Трубная площадь, дом 2
МФК «Галерея Неглинная»

Тел.: +7 (495) 229 29 99
Факс: +7 (495) 229 79 99
www.roche.ru

“Roche-Moscow” Jsc

MFC “Neglinnaya Gallery”
2, Trubnaya Square
107031 Moscow, Russia

Tel.: +7 (495) 229 29 99
Fax: +7 (495) 229 79 99
www.roche.ru