

В России зарегистрирован пероральный препарат рисдиплам для лечения спинальной мышечной атрофии у взрослых и детей с двух месяцев

- Рисдиплам — первый и единственный препарат для лечения СМА, который можно принимать на дому.
- Участники программы дорегистрационного доступа к рисдипламу продолжают получать препарат за счет средств компании «Рош» до его ввода в гражданский оборот.
- В клинических исследованиях подтверждено улучшение двигательных функций у пациентов разных возрастов со СМА 1-го, 2-го и 3-го типов.

Москва, 30 ноября 2020 г. — Министерство здравоохранения РФ одобрило препарат рисдиплам для лечения спинальной мышечной атрофии (СМА) у взрослых и детей с двух месяцев. Регистрационное удостоверение опубликовано на портале Государственного реестра лекарственных средств. Препарат может потенциально помочь до 4,9 тысяч российских пациентов со СМА разной степени тяжести, включая 1-й, 2-й, 3-й и 4-й типы [1].

Рисдиплам (торговое наименование Эврисди®) создан для лечения СМА путем повышения в организме уровня белка выживаемости двигательных нейронов (SMN). Это первый и единственный препарат для патогенетической терапии СМА, который можно принимать на дому. Он применяется в жидкой форме один раз в сутки перорально или, при необходимости, через зонд для энтерального питания.

Ожидается, что первые партии препарата рисдиплам поступят в гражданское обращение в России в мае 2021 года.

Примерно 230 россиян были включены в глобальную программу дорегистрационного доступа к препарату рисдиплам по жизненным показаниям. Среди них более 70 пациентов со СМА 1-го типа и около 160-ти со СМА 2-го типа. Они продолжают получать лечение за счет средств компании «Рош» до момента ввода в гражданский оборот первой партии препарата.

Почему это важно?

По данным Благотворительного фонда «Семьи СМА», на начало ноября 2020 года в России насчитывалось 1 048 пациентов со СМА, из них 823 — дети. При этом потенциальное количество больных в стране может достигать 4,9 тысяч человек [1].

Спинальная мышечная атрофия (СМА) — редкое тяжелое наследственное прогрессирующее нервно-мышечное заболевание. Оно развивается вследствие мутации или отсутствия в ДНК гена SMN1, из-за чего формируется дефицит белка SMN, необходимого для сохранения мотонейронов — крупных нервных клеток в спинном мозге, контролирующих движение мышц. В результате мышцы слабеют и атрофируются.

В зависимости от типа СМА, физическая сила человека и его способность ходить, есть или дышать могут быть значительно уменьшены или полностью утрачены. По разным данным, каждый 40-60-й человек является носителем генной мутации [2]; при наличии мутации у обоих родителей вероятность рождения ребенка со СМА составляет 25% [3].

Результаты клинических исследований

В регистрационной заявке на рисдиплам были представлены данные клинических исследований с участием пациентов, представляющих различные возрастные группы и страдающих заболеванием различной степени тяжести, включая СМА 1-го, 2-го и 3-го типов.

Так, в исследовании FIREFISH с участием пациентов со СМА 1-го типа в возрасте 2–7 месяцев, спустя 2 года после начала лечения 88% пациентов были живы без постоянной вентиляции легких. 59% пациентов, получавших терапевтическую дозу, достигли способности сидеть без поддержки в течение не менее 5 секунд — ключевой этап развития моторной функции, который обычно не наблюдается при естественном течении болезни. 65% пациентов могли удерживать голову в вертикальном положении, 29% могли переворачиваться, и 30% могли стоять с поддержкой. 100% пациентов сохранили способность глотать, 93% сохранили способность питаться перорально [4].

В исследовании SUNFISH у детей и взрослых со СМА 2-го или 3-го типов в возрасте от 2 до 25 лет, спустя 2 года после начала лечения наблюдалось клинически и статистически значимое улучшение двигательной функции по сравнению с плацебо [5].

В исследовании JEWELFISH с участием пациентов со СМА в возрасте от 6 месяцев до 60 лет, ранее получавших патогенетическое лечение, применение рисдиплама привело к быстрому и устойчивому повышению уровня в организме белка SMN [5].

В клинических исследованиях не было зафиксировано ни одного случая прекращения терапии, связанного с препаратом рисдиплам. Наиболее частыми нежелательными явлениями при позднем начале СМА, а также при СМА с дебютом в младенческом возрасте были диарея и сыпь. Они разрешались несмотря на продолжающееся лечение.

Статус регистрации в мире

Кроме России, в настоящее время препарат рисдиплам разрешен к применению в США, Бразилии, Чили, Украине, Южной Корее и Грузии. Заявки на регистрацию находятся на рассмотрении регуляторных органов Европейского союза, Швейцарии, Японии, Китая, Израиля и еще 15 стран мира.

Заявка на регистрацию рисдиплама была подана в Министерство здравоохранения РФ в марте 2020 года, после чего препарат получил статус орфанного лекарства.

Цитаты

Ольга Германенко, директор Благотворительного фонда «Семьи СМА»: «Несмотря на

регистрацию в августе 2019 года в России первого препарата для лечения СМА, пока мы отмечаем сложности с обеспечением больных лекарственной терапией. Многие пациенты все еще не получают необходимого лечения. Одобрение рисдиплама, как препарата патогенетической терапии, сможет стать еще одним шагом к доступному лечению и создаст условия для более широкого применения эффективных лекарственных средств у пациентов, которые в них нуждаются».

Екатерина Фадеева, медицинский директор компании «Рош»: «Большинство людей со СМА в России пока не получают необходимого патогенетического лечения. Мы надеемся, что рисдиплам с его благоприятным клиническим профилем и пероральным режимом применения принесет значимую пользу многим из тех, кто живет с этим тяжелым нервно-мышечным заболеванием. Наша компания предпринимает все необходимые усилия и работает со всеми заинтересованными сторонами, чтобы все пациенты, независимо от возраста и типа СМА, смогли получить необходимое лечение».

Клинические исследования рисдиплама

Рисдиплам изучается в рамках обширной программы клинических исследований. В них участвуют пациенты со СМА от 2 месяцев до 60 лет с различными симптомами и уровнем двигательных функций, например, со сколиозом или контрактурами суставов, а также те, кто ранее получал патогенетическое лечение по поводу СМА. Всего в программе приняли или принимают участие более 450 пациентов.

- FIREFISH (NCT02913482) — открытое клиническое исследование, состоящее из двух частей, по оценке безопасности, переносимости, эффективности и фармакокинетики и фармакодинамики у пациентов в возрасте 2–7 месяцев со СМА 1-го типа. В первой части исследования оценивали несколько дозировок рисдиплама и определили терапевтическую дозу 0,2 мг/кг для второй части.
- SUNFISH (NCT02908685) — многоцентровое плацебо-контролируемое клиническое исследование, состоящее из двух частей, по оценке по оценке безопасности, переносимости, эффективности и фармакокинетики и фармакодинамики у пациентов со СМА 2-го или 3-го типов в возрасте от 2 до 25 лет с разной степенью тяжести заболевания.
- JEWELFISH (NCT03032172) — открытое исследование по оценке по оценке безопасности, переносимости, эффективности, фармакокинетики и фармакодинамики у пациентов со СМА в возрасте от 6 месяцев до 60 лет, ранее получавших зарегистрированное или исследуемое патогенетическое лечение. Набор участников исследования завершён, всего в исследование рандомизировано 174 пациента.
- RAINBOWFISH (NCT03779334) — открытое несравнительное многоцентровое исследование по оценке эффективности, безопасности, фармакокинетики и фармакодинамики рисдиплама у младенцев (~n=25) в возрасте от рождения до шести недель (при первом введении препарата) с диагнозом СМА, установленным по результатам генетического теста, у которых пока отсутствуют симптомы заболевания. В настоящее время продолжается набор участников исследования.

«Рош» в неврологии

Неврология — одно из приоритетных направлений научных исследований «Рош». Компания использует последние достижения науки для создания методов лечения, которые могут повысить качество жизни людей с тяжелыми и хроническими заболеваниями. «Рош» ведет разработку более десяти перспективных препаратов для лечения неврологических заболеваний, в том числе рассеянного склероза, оптиконевромиелита, болезни Альцгеймера, болезни Гентингтона, болезни Паркинсона, миодистрофии Дюшенна и аутизма.

Компания «Рош»

«Рош» (Базель, Швейцария) — глобальная инновационная компания в области фармацевтики и диагностики, которая использует передовую науку, чтобы улучшить жизни людей. В 2019 году инвестиции компании в исследования и разработки составили 11,7 млрд швейцарских франков. «Рош» является одним из крупнейших разработчиков и производителей биотехнологических лекарственных препаратов для лечения онкологических, аутоиммунных, инфекционных и неврологических заболеваний. Компания также является одним из лидеров в области диагностики *in vitro* и гистологической диагностики онкологических заболеваний, а также пионером в области самоконтроля сахарного диабета. Объединение фармацевтического и диагностического подразделений позволяет «Рош» быть одним из лидеров в области персонализированной медицины. АО «Рош-Москва» представляет в России фармацевтическое подразделение компании. Работая со всеми заинтересованными сторонами, мы стремимся улучшить доступ российских пациентов к инновационным технологиям в лечении заболеваний. 27 препаратов компании входят в перечень ЖНВЛП. «Рош» вносит долгосрочный вклад в развитие медицины, науки, общественного здравоохранения и фармацевтической промышленности в России. Подробнее на www.roche.ru.

Все товарные знаки, используемые или упомянутые в этом сообщении, защищены законом.

Ссылки

[1] Ежегодный бюллетень экспертного совета по редким (орфанным) заболеваниям. Комитет Государственной думы по охране здоровья. Москва, 2020. С. 79.

[2] Verhaart и соавт., 2017.

[3] Cure SMA. About SMA. Доступ: www.curesma.org/sma/about-sma.

[4] Roche presents new 2-year data for Evrysdi (risdiplam) in infants with Type 1 spinal muscular atrophy (SMA). Доступ: <https://www.roche.com/media/releases/med-cor-2020-09-28.htm>.

[5] Roche announces 2-year risdiplam data from SUNFISH and new data from JEWELFISH in infants, children and adults with spinal muscular atrophy (SMA). Доступ: <https://www.roche.com/media/releases/med-cor-2020-06-12.htm>.

Контакты для СМИ

+7 495 229 29 99 / moscow.media@roche.com

+7 963 661 4 661 / sergey.avdeenko@roche.com