

## **Компания «Рош» сообщила новую информацию о процессе регистрации препарата рисдиплам для лечения спинальной мышечной атрофии в мире**

- FDA продлевает время рассмотрения заявки на регистрацию рисдиплама в США после согласованного предоставления дополнительных данных, в том числе второй части клинического исследования SUNFISH.
- Заявки на регистрацию препарата поданы дополнительно в семи странах.
- В программе клинических исследований рисдиплама оценивается применение препарата у младенцев, детей и взрослых со СМА 1, 2 или 3 типа.

Базель, 7 апреля 2020 г. — Компания «Рош» сообщает, что Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (FDA) продлевает срок рассмотрения заявки на регистрацию лекарственного препарата рисдиплам и планирует вынести решение к 24 августа 2020 года. Продление сроков связано с тем, что компания «Рош», работая в тесном сотрудничестве с FDA, передала в Управление дополнительные данные по препарату, в том числе из второй части опорного клинического исследования SUNFISH. Эти данные были представлены в феврале 2020 года на 2-м Международном научно-медицинском конгрессе по спинальной мышечной атрофии.

В ноябре 2019 года FDA приняло заявку на регистрацию рисдиплама в приоритетном порядке с ожидаемым сроком вынесения решения 24 мая 2020 года. В феврале 2020 года, после консультаций с FDA, компания «Рош» представила дополнительные данные, которые, в случае регистрации препарата, помогут обеспечить доступ к рисдипламу для широкого круга людей со спинальной мышечной атрофией. Среди них 12-месячные данные по эффективности и безопасности препарата из второй (подтверждающей) части опорного клинического исследования SUNFISH (n = 180), единственного плацебо-контролируемого исследования, когда-либо проводившегося у людей в возрасте от 2 до 25 лет со СМА 2 или 3 типа<sup>1</sup>. Учитывая объем представленных дополнительных данных, FDA потребуется больше времени для рассмотрения заявки.

---

<sup>1</sup> Данные второй (подтверждающей) части исследования SUNFISH изначально были включены в заявку на регистрацию лекарственного препарата рисдиплам в России, которая была подана в Министерство здравоохранения России 18 марта 2020 года.

«Мы твердо верим в потенциал рисдиплама как новой терапевтической опции и знаем, что в лечении СМА сохраняется высокая неудовлетворенная потребность, — отметил Леви Гарруэй, главный медицинский директор и глава глобального подразделения по разработке лекарственных препаратов компании «Рош». — Мы тесно сотрудничаем с FDA по вопросам, связанным с заявкой на регистрацию рисдиплама. Наша цель — как можно быстрее обеспечить доступность препарата для младенцев, детей и взрослых, живущих со СМА».

Компания «Рош» также рада сообщить, что заявки на регистрацию рисдиплама на настоящий момент поданы в России, Бразилии, Чили, Индонезии, Южной Корее и Тайване, а также в Китае, где в ближайшее время ожидается подтверждение регуляторов о принятии к рассмотрению. Также ведется плановая работа по подаче досье на регистрацию рисдиплама в Европе, которая запланирована на середину 2020 года, а также в других странах мира.

Компания «Рош» проводит клинические исследования препарата рисдиплам, перорального модификатора сплайсинга гена SMN2, совместно с Фондом СМА (SMA Foundation) и компанией PTC Therapeutics. Препарат изучается в рамках обширной программы клинических исследований по СМА, которая охватывает широкий спектр пациентов со СМА, представляющих реальную популяцию людей с этим заболеванием. В клинических исследованиях рисдиплама участвуют пациенты от рождения до 60 лет, в том числе ранее получавшие патогенетическое лечение по поводу СМА.

### **О спинальной мышечной атрофии**

Спинальная мышечная атрофия (СМА) — редкое тяжелое наследственное прогрессирующее нервно-мышечное заболевание, которое вызывает атрофию мышц и связанные с ней осложнения. СМА приводит к прогрессирующей потере нервных клеток в спинном мозге, которые контролируют движение мышц. В зависимости от типа СМА, физическая сила человека и его способность ходить, есть или дышать могут быть значительно уменьшены или полностью утрачены. Это заболевание является ведущей генетической причиной смертности младенцев и детей раннего возраста и одно из самых распространенных редких заболеваний, поражающее, по разным данным, одного из 6-11 тыс. детей [1, 2]. По разным данным, каждый 40-60-й человек является носителем генной мутации [3]; при наличии мутации у обоих родителей вероятность рождения ребенка со СМА составляет 25% [4].

### **О рисдипламе**

Рисдиплам — инновационный лекарственный препарат, выпускаемый в форме порошка для приготовления раствора для приема внутрь. Рисдиплам является модификатором сплайсинга гена SMN2, с которого синтезируется белок выживаемости двигательных моторных нейронов (SMN) у пациентов со СМА. Препарат разработан для длительного повышения и поддержания уровня белка

SMN как в центральной нервной системе, так и в периферических тканях организма. Рисдиплам в настоящее время оценивается в четырех многоцентровых исследованиях с участием пациентов с диагнозом СМА:

- SUNFISH — двойное слепое плацебо-контролируемое исследование, состоящее из двух частей, с участием пациентов в возрасте от 2 до 25 лет со СМА 2-го и 3-го типов. В ходе первой части исследования (n=51) определена доза для второй части. Во второй части (n=180) оценивается моторная функция по шкале MFM-32 (Motor Function Measure 32). MFM-32 — это валидированная шкала, используемая для оценки мелкой и крупной моторики у людей с неврологическими расстройствами, включая такую патологию, как спинальная мышечная атрофия. Первичная конечная точка исследования достигла статистической значимости.
- FIREFISH — открытое клиническое исследование, состоящее из двух частей, с участием детей в возрасте 1–7 месяцев со СМА 1-го типа. Часть 1 (n=21) представляла собой исследование с эскалацией дозы, основная цель — оценка профиля безопасности рисдиплама у младенцев и определение дозы для второй части исследования. Цель части 2 (n=41) продолжительностью 24 месяца, с последующим открытым расширенным периодом исследования, состоит в оценке эффективности, которая определялась как доля младенцев, которые могли сидеть без поддержки после 12 месяцев лечения, согласно шкале общей моторики Бейли по оценке развития младенцев — третья редакция (BSID-III) (определяется как способность сидеть без поддержки в течение 5 секунд). Набор участников в часть 2 исследования завершился в ноябре 2018 года. Первичная конечная точка исследования достигла статистической значимости.
- JEWELFISH — открытое исследование с участием пациентов со СМА в возрасте от 6 месяцев до 60 лет, ранее получавших патогенетическое лечение по поводу заболевания. Набор участников исследования завершён.
- RAINBOWFISH — открытое 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 по результатам генетического теста, у которых пока отсутствуют симптомы заболевания. В настоящее время продолжается набор участников исследования.

### **«Рош» в неврологии**

Компания «Рош» на протяжении многих лет разрабатывает лекарственные препараты, которые вносят вклад в здравоохранение. Неврология – одно из приоритетных направлений научных исследований. Компания создает методы лечения, основанные на биологических процессах в нервной системе и предназначенные для повышения качества жизни людей с тяжелыми и хроническими заболеваниями. «Рош» ведет разработку более десяти перспективных препаратов для лечения неврологических заболеваний – в том числе рассеянного склероза, оптиконевромиелита, спинальной мышечной атрофии, аутизма, болезни Альцгеймера, болезни Гентингтона, болезни Паркинсона,

миодистрофии Дюшенна.

### **О компании «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](http://www.roche.ru).

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

### **Ссылки**

[1] Lainie Friedman Ross et al. NEOREVIEWS Vol. 20 No. 8 August 01, 2019 pp. e437-e451. Доступ:

<https://neoreviews.aappublications.org/content/20/8/e437.long>.

[2] Williams L et al. Spinal Muscular Atrophy in the Age of Gene Therapy. AACN Adv Crit Care (2020) 31 (1): 86–91. Доступ:

<https://doi.org/10.4037/aacnacc2020436>.

[3] Verhaart и соавт., 2017.

[4] Cure SMA. About SMA. Доступ: [www.curesma.org/sma/about-sma](http://www.curesma.org/sma/about-sma).

### **Контакты для СМИ**

+7 495 229 29 99 / [moscow.media@roche.com](mailto:moscow.media@roche.com)