

## Roche представила новые достижения в терапии для людей с редкими нервно-мышечными заболеваниями на Всемирном конгрессе специалистов по нервно-мышечным заболеваниям (WMS) 2021

- Новые данные показывают, что у детей с пресимптоматической спинальной мышечной атрофией (СМА), получавших рисдиплам, сохранялась способность глотать.
- Рисдиплам продемонстрировал стабильную клинически значимую эффективность у взрослых, детей и младенцев от двух месяцев и старше и в настоящее время одобрен в 58 странах мира.
- Презентации включали данные исследований, подтверждающих эффективность, безопасность и устойчивое продолжительное влияние генной терапии SRP-9001 при лечении мышечной дистрофии Дюшенна (МДД).

Базель, 24 сентября 2021 года - Roche представила данные по своему портфелю препаратов для лечения нервно-мышечных заболеваний на Всемирном онлайн-конгрессе общества специалистов по нервно-мышечным болезням (WMS) 20-24 сентября 2021 года. Презентации включали дополнительные результаты исследования RAINBOWFISH, оценивающие эффективность и безопасность препарата Эврисди® (рисдиплам) у детей с пресимптоматической спинальной мышечной атрофией (СМА) от рождения до шестинедельного возраста, а также данные, подтверждающие продолжение клинического исследования генной терапии SRP-9001 при мышечной дистрофии Дюшенна (МДД).

“Новые данные по препарату рисдиплам могут помочь расширить спектр преимуществ этого лекарственного препарата для младенцев со СМА. Кроме того, данные проекта SRP-9001 помогли оптимизировать дизайн предстоящего исследования фазы III для мышечной дистрофии Дюшенна”, - сказал Леви Гарравэй, M.D., Ph.D, главный медицинский директор Roche и руководитель глобальной разработки продуктов. “Наша цель в том, чтобы продолжать лидировать в разработке прорывных лекарственных препаратов для лечения нервно-мышечных заболеваний. Мы благодарны за партнерские отношения, которые помогают нам разрабатывать новые методы лечения для людей, страдающих этими тяжелыми заболеваниями”.

На WMS 2021 были представлены данные текущего открытого исследования RAINBOWFISH. Четверо из пяти пациентов, получавших препарат в течение не менее 12 месяцев, достигли способности самостоятельно стоять и ходить в соответствии с нормативами Всемирной организации здравоохранения для здоровых детей. Кроме того, все пятеро младенцев сохранили способность глотать и питаться исключительно перорально после 12 месяцев лечения.

Ранее опубликованные результаты показали, что младенцы, получавшие рисдиплам в течение не менее 12 месяцев, достигли ключевых двигательных навыков в соответствии со шкалой HINE-2 (Hammersmith Infant Neurological Examination), при этом 100% (n=5) из них смогли удерживать голову, сидеть прямо, переворачиваться и ползать.

Эти данные дополняют растущий объем доказательств, подтверждающих эффективность рисдиплама для широкого круга пациентов. Более 4000 пациентов прошли лечение с помощью препарата в ходе клинических исследований, благотворительных программ и в рамках реальной клинической практики.

В терапии МДД были также представлены трехлетние данные открытого исследования SRP-9001-101, в котором оценивалась безопасность однократной дозы исследуемой генной терапии SRP-9001 у четырех детей в возрасте 4 и 7 лет с мышечной дистрофией Дюшенна. Исследование показало, что SRP-9001 хорошо переносился, также согласно ключевой функциональной оценке, которая измерялась по методике оценки подвижности пациента North Star (NSAA), было продемонстрировано общее улучшение двигательных способностей по сравнению с исходным уровнем. Улучшения способности двигаться сохранялись в течение трех лет, что свидетельствует о стабильной продолжительной реакции. Результаты подтверждают необходимость продолжения клинических исследований для дальнейшей оценки пользы/риска SRP-9001 у пациентов с мышечной дистрофией Дюшенна.

Компания “Рош” и партнер Sarepta также поделились данными ENDEAVOR (исследование SRP-9001-103) - первого клинического исследования с использованием коммерчески репрезентативного материала SRP-9001 для лечения МДД. Промежуточные результаты первых 11 участников когорты 1 (мальчики в амбулаторной стадии заболевания в возрасте 4-7 лет) из продолжающегося открытого исследования фазы 1b, свидетельствуют о том, что SRP-9001 продемонстрировал устойчивую экспрессию микродистрофина и никаких новых сигналов безопасности выявлено не было.

Кроме того, результаты части 1 исследования SRP-9001-102, продолжающегося рандомизированного двойного слепого плацебо-контролируемого клинического исследования, оценивающего безопасность, эффективность и переносимость однократной дозы SRP-9001 у 41 мальчика с мышечной дистрофией Дюшенна, показали, что исследование достигло своей основной конечной точки - изменения экспрессии белка микродистрофина по сравнению с исходным уровнем. Участники, получавшие SRP-9001, в целом показали увеличение общего балла NSAA по сравнению с плацебо через 48 недель, хотя это увеличение не достигло статистической значимости по сравнению с таковым у пациентов, получавших плацебо. Профиль безопасности соответствовал предыдущим исследованиям, при этом никаких новых сигналов безопасности не было выявлено.

Результаты этих исследований представляют важную информацию для текущей программы клинической разработки SRP-9001, а результаты исследований 101 и 102 послужат основой для разработки дизайна клинического исследования 3-й фазы, которое должно начаться во всем мире к концу года.

### **О препарате рисдиплам**

Рисдиплам представляет собой модификатор сплайсинга - предшественника матричной рибонуклеиновой кислоты (пре-мРНК) гена выживаемости двигательных нейронов 2 (SMN2), предназначенный для лечения СМА путем увеличения выработки белка выживаемости двигательных нейронов (SMN). Белок SMN содержится во всем организме и имеет решающее значение для сохранения двигательных нейронов и способности движения. Препарат вводят ежедневно в домашних условиях в жидкой форме через рот или через трубку для питания.

Управление по контролю за продуктами и лекарствами США (FDA) и Европейское агентство по лекарственным средствам (EMA) одобрили препарат для лечения СМА у взрослых и детей в возрасте 2 месяцев и старше. Рисдиплам получил статус PRIME от EMA в 2018 году и статус орфанного препарата от FDA и EMA в 2017 и 2019 годах, соответственно. В настоящее время он одобрен более чем в 50 странах, включая США, Россию и Европу, и подан на регистрацию более чем в 30 странах мира.

### **О спинально-мышечной атрофии**

СМА - это тяжелое, прогрессирующее нервно-мышечное заболевание, которое может привести к летальному исходу. Статистика показывает, что примерно один из 10 000 младенцев имеет данное заболевание, которое является ведущей генетической причиной младенческой смертности. СМА вызвана мутацией гена выживаемости двигательных нейронов 1 (SMN1), которая приводит к дефициту белка SMN. Этот белок содержится во всем организме и необходим для сохранения двигательных нейронов, которые управляют мышцами и движением. Без него двигательные нейроны не могут функционировать правильно, что со временем приводит к мышечной слабости. В зависимости от типа СМА физическая сила человека и его способность ходить, есть или дышать могут быть значительно уменьшены или утрачены.

### **О генной терапии SRP-9001**

SRP-9001 (raavrh74.MHCK7. микродистрофин) - это находящаяся в статусе разработки генная терапия, предназначенная для доставки гена, кодирующего микродистрофин, непосредственно в скелетную и сердечную мышцу для целенаправленного производства белка микродистрофина для обеспечения длительного клинического ответа. Компания Sarepta Therapeutics отвечает за глобальную разработку и производство SRP-9001 и планирует коммерциализировать разработку в Соединенных Штатах после получения одобрения FDA. В декабре 2019 года Roche заключила партнерство с Sarepta, чтобы объединить глобальное и коммерческое присутствие Roche, а также опыт в области регулирования для ускорения доступа к инновационной терапии для пациентов за пределами США.

### **О мышечной дистрофии Дюшенна**

МДД (DMD) - это редкое прогрессирующее нервно-мышечное заболевание, связанное с X-хромосомой и вызванное мутациями в гене, которое нарушает выработку функционального белка дистрофина, приводя к потере мышечной функции и преждевременной смерти. МДД является одним из наиболее распространенных генетических заболеваний со смертельным исходом, поражающим примерно одного из каждых 3500-5000 новорожденных мужского пола во всем мире.

Симптомы обычно проявляются у младенцев и малышей, при этом у таких детей наблюдаются задержки в развитии, такие как трудности при ходьбе, подъеме по лестнице или вставании из положения сидя. По мере прогрессирования МДД мышечная слабость распространяется на руки, туловище и другие области, что означает, что пациентам часто требуется проводить полный день в инвалидной коляске в раннем подростковом возрасте. Продолжительность жизни ограничена из-за сердечной и/или дыхательной недостаточности.

### **«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, заболевания спектра оптиконевромиелита, болезни Альцгеймера, болезни Гентингтона, болезни Паркинсона, миодистрофии Дюшенна и аутизма. Вместе с нашими партнерами мы стремимся сдвигать границы научного понимания для решения самых сложных

вызовов в области неврологии сегодня.

### **О компании Рош**

«Рош» (Базель, Швейцария) — глобальная инновационная компания в области фармацевтики и диагностики, которая использует передовую науку, чтобы улучшить жизни людей. В 2020 году инвестиции компании в исследования и разработки составили 12,2 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. 30 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 выпуске, защищены законом.

### **Контакты для СМИ**

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