

## **Компания «Рош» представила новые данные исследования FIREFISH по препарату рисдиплам для лечения спинальной мышечной атрофии**

- Рисдиплам продемонстрировал статистически и клинически значимое улучшение показателей моторной функции у детей в возрасте 1–7 месяцев со СМА 1-го типа.
- Безопасность рисдиплама соответствовала известному профилю безопасности данного препарата, новых сигналов безопасности не выявлено.
- Результаты исследования будут представлены в регулирующие органы во всем мире.

Базель, 27 января 2020 г. — Международная инновационная компания в области здравоохранения «Рош» сообщила о результатах второй части регистрационного клинического исследования FIREFISH, в котором оценивается применение препарата рисдиплам у младенцев в возрасте 1–7 месяцев со спинальной мышечной атрофией (СМА) 1-го типа. Основным критерием оценки результатов исследования было количество детей, которые могли сидеть без поддержки в течение не менее пяти секунд после 12 месяцев лечения, что оценивалось по шкале общей моторики Бейли по оценке развития младенцев — третья редакция (BSID-III). Безопасность рисдиплама в исследовании FIREFISH соответствовала известному профилю безопасности данного препарата, новых сигналов безопасности не выявлено. На сегодняшний день во всех исследованиях лечение рисдипламом получили более 400 пациентов, при этом ни в одном из исследований не выявлено данных по безопасности, которые привели бы к прекращению участия по причинам, связанным с проводимым лечением.

«Исследование FIREFISH подтверждает действие рисдиплама в популяции пациентов с трудно поддающимся лечению заболеванием, включая тех, у кого до начала терапии болезнь уже значительно прогрессировала, — отметил Леви Гарруэй, главный медицинский директор и глава глобального подразделения по разработке лекарственных препаратов компании «Рош». — Мы очень воодушевлены полученными результатами и намерены направить их в регулирующие органы. Мы также выражаем благодарность всему СМА сообществу за совместную работу».

Рисдиплам (RG7916) — исследуемый модификатор сплайсинга гена, с которого синтезируется белок выживаемости мотонейронов-2 (SMN2). Препарат предназначен для увеличения и поддержания уровня белка SMN как в ЦНС и в периферических тканях организма. Компания «Рош» проводит клинические исследования препарата рисдиплам в рамках сотрудничества с Фондом СМА (SMA Foundation) и компанией PTC Therapeutics. Подробные результаты исследования FIREFISH будут представлены на одном из предстоящих международных медицинских конгрессов.

Рисдиплам изучается в рамках обширной программы клинических исследований по СМА с участием пациентов с рождения до 60 лет, в том числе ранее получавших терапию по поводу своего заболевания. Популяция участников клинических исследований рисдиплама представляет широкий спектр людей, живущих со СМА, с целью обеспечения доступности препарата для всех пациентов с соответствующими показаниями.

Ранее, 11 ноября 2019 года, компания «Рош» объявила о положительных результатах второй части исследования SUNFISH, в котором оценивались эффективность и безопасность рисдиплама у пациентов в возрасте 2-25 лет с СМА 2-го и 30-го типов. Также в ноябре 2019 года Управлением по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (FDA) принято решение о приоритетном рассмотрении заявки на регистрацию рисдиплама, решение по одобрению ожидается до 24 мая 2020 г.

#### **Об исследовании FIREFISH**

FIREFISH — открытое базовое клиническое исследование, состоящее из двух частей с участием пациентов в возрасте 1-7 месяцев со СМА 1-го типа. В первой части исследования (n=21) оценивался профиль безопасности рисдиплама и определялась доза для второй (подтверждающей) части. Во второй части (n=42) оценивалась эффективность лечения, определявшаяся по относительному количеству младенцев, которые могли сидеть без поддержки после 12 месяцев лечения и в дальнейшем; оценка проводилась по шкале общей моторики Бейли по оценке развития младенцев — третья редакция (BSID-III) (определяется как способность сидеть без поддержки в течение 5 секунд).

#### **О спинальной мышечной атрофии**

Спинальная мышечная атрофия (СМА) — тяжелое наследственное прогрессирующее нервно-мышечное заболевание, которое вызывает атрофию мышц и связанные с этим осложнения. Это наиболее распространенная генетическая причина детской смертности и одно из самых распространенных редких заболеваний, поражающее примерно одного из 11 тыс. детей [1]. 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. 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].

СМА обусловлена мутацией в гене выживания мотонейронов 1 (SMN1), которая приводит к дефициту белка SMN. Белок SMN обнаружен во всем организме, и появляется все больше доказательств того, что СМА является мультисистемным расстройством, и потеря белка SMN может

повлиять на многие ткани и клетки, что может помешать функционированию организма.

### **О препарате рисдиплам**

Рисдиплам — исследуемый препарат, применяемый в жидкой форме перорально, и являющийся модификатором сплайсинга гена, с которого синтезируется белок выживаемости мотонейронов-2 (SMN2) при спинальной мышечной атрофии (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 (NCT02908685) — информация об исследовании приведена выше. Результаты будут представлены на одном из предстоящих медицинских конгрессов.
- FIREFISH (NCT02913482) — открытое клиническое исследование, состоящее из двух частей, с участием младенцев 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). В настоящее время продолжается часть 2 исследования.
- JEWELFISH (NCT03032172) — открытое исследование с участием пациентов со СМА в возрасте от 6 месяцев до 60 лет, ранее получавших лечение по поводу заболевания. В настоящее время продолжается набор участников исследования.
- RAINBOWFISH (NCT03779334) — 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**

Неврология является одним из основных направлений научных исследований и разработок компании «Рош». Цель компании заключается в создании методов лечения, основанных на биологических процессах в нервной системе и предназначенных для улучшения жизни людей с хроническими и потенциально тяжелыми заболеваниями. «Рош» ведет разработку более десяти перспективных препаратов для лечения неврологических заболеваний, включая рассеянный склероз, спинальную мышечную атрофию, оптиконевромиелит, болезнь Альцгеймера, болезнь Гентингтона, болезнь Паркинсона и аутизм.

## **О компании «Рош»**

«Рош» (Базель, Швейцария) — глобальная инновационная компания в области фармацевтики и диагностики, которая использует передовую науку, чтобы улучшить жизни людей. В 2018 году инвестиции компании в исследования и разработки составили 11 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, использованные 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] Фонд «Семьи СМА». О СМА. Доступ: <http://f-sma.ru/310.html#cut>.

[3] 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)