

FDA в приоритетном порядке рассмотрит заявку на регистрацию препарата ридиплам для лечения спинальной мышечной атрофии

- Досье включает данные 12 месяцев наблюдения из основных клинических исследований FIREFISH и SUNFISH, в которых оценивается применение ридиплама у пациентов со СМА 1, 2 или 3 типа.

Базель, 25 ноября 2019 г. — Международная инновационная компания в области здравоохранения «Рош» сообщает, что Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (FDA) приняло заявку на регистрацию нового лекарственного препарата (NDA) и предоставило статус приоритетного рассмотрения препарату ридиплам, исследуемому модификатору сплайсинга гена SMN2 для лечения спинальной мышечной атрофии (СМА). Ридиплам предназначен для увеличения и поддержания уровня белка SMN как в центральной нервной системе, так и в периферических тканях организма. Ожидается, что FDA примет решение о регистрации до 24 мая 2020 года.

«Исследования FIREFISH и SUNFISH были спланированы таким образом, чтобы охватить все группы пациентов со СМА, в том числе которые ранее были недостаточно представлены в клинических исследованиях, — сказал Леви Гарруэй, главный медицинский директор и руководитель глобального подразделения по разработке лекарственных препаратов «Рош». — Мы рады совместной работе с FDA для изучения возможностей широкого доступа к препарату ридиплам для всех пациентов с диагнозом СМА, которым он может принести пользу».

Заявка на регистрацию препарата ридиплам включает данные 12 месяцев наблюдения, полученные в первой части исследований FIREFISH и SUNFISH, посвященной определению дозы, а также данные из подтверждающей второй части исследования SUNFISH.

FIREFISH — открытое клиническое исследование, состоящее из двух частей, с участием младенцев со СМА 1-го типа. Первая часть представляла собой исследование с эскалацией дозы, в котором приняли участие 21 ребенок в возрасте от одного до семи месяцев. Основной целью этой части, в которой оценивалась эффективность в качестве исследовательской конечной точки, было оценить профиль безопасности ридиплама у младенцев и определить дозу для второй части исследования. Вторая часть — несравнительное исследование ридиплама с участием 41 младенца со СМА 1-го типа продолжительностью 24 месяца с последующим открытым расширенным периодом исследования.

SUNFISH — двойное слепое плацебо-контролируемое исследование с участием пациентов в возрасте от 2 до 25 лет со СМА 2-го и 3-го типа. В ходе первой части исследования (n=51) определена доза для второй (подтверждающей) части и оценивалась эффективность в качестве исследовательской конечной точки. Вторая часть (n=180) — это большое плацебо-контролируемое исследование, оценивающее лечение пациентов со СМА 2-го или 3-го типа. Недавно в этой части была достигнута первичная конечная точка — изменение от исходного уровня по шкале моторной функции MFM-32¹ (Motor Function Measure 32). Профиль безопасности рисдиплама остался без изменений, новых сигналов по безопасности в исследовании не выявлено. Подробные результаты исследования SUNFISH будут представлены на одном из предстоящих международных медицинских конгрессов.

В случае одобрения препарат рисдиплам, представляющий собой жидкость для перорального применения, станет первым лекарством, применяемым амбулаторно у пациентов со СМА. 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.

Компания «Рош» проводит клинические исследования препарата рисдиплам в рамках сотрудничества с Фондом СМА (SMA Foundation) и компанией PTC Therapeutics.

Право на приоритетное рассмотрение (Priority Review) предоставляется лекарственным препаратам, которые, по мнению FDA, способны обеспечить значимые улучшения в плане безопасности и эффективности при лечении, профилактике или диагностике серьезных заболеваний. В январе 2017 года FDA предоставило препарату рисдиплам статус орфанного препарата, а в апреле 2017 года — статус «Быстрое рассмотрение» (Fast Track).

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 младенческой 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].

¹ MFM-32 — это валидированная шкала, используемая для оценки мелкой и крупной моторики у людей с неврологическими расстройствами, включая такую патологию, как спинальная мышечная атрофия.

СМА обусловлена мутацией в гене выживания мотонейронов 1 (SMN1), которая приводит к дефициту белка SMN. Белок SMN обнаружен во всем организме, и 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 рисдипламе

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 разработке 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.

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.

Контакты для СМИ

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