

Компания «Рош» представила новые данные исследования SUNFISH по препарату ридиплам для лечения спинальной мышечной атрофии

- В исследовании продемонстрированы статистически значимые улучшения у всех участников, находившихся на терапии, — пациентов со СМА 2-го и 3-го типа.
- На данный момент ни в одном исследовании ридиплама не было обнаружено связанных с препаратом сигналов по безопасности, которые бы привели к приостановке исследования.
- Результаты SUNFISH будут переданы в органы здравоохранения по всему миру.

Базель, 21 ноября 2019 г. — Международная инновационная компания «Рош» сообщила о результатах клинического исследования II фазы SUNFISH, в котором изучается применение препарата ридиплам у пациентов со спинальной мышечной атрофией (СМА) 2-го и 3-го типа. В исследовании была достигнута первичная конечная точка — изменение от исходного уровня по шкале моторной функции MFM-32 (Motor Function Measure 32) после 1 года лечения препаратом в сравнении с плацебо. Профиль безопасности ридиплама остался без изменений, новых сигналов по безопасности в исследовании не выявлено.

«Результаты, достигнутые в рамках этого клинического исследования, имеют особое значение для пациентов со СМА 2-го и 3-го типа, ведь сегодня в большинстве они не получают необходимого лечения, — отмечает Леви Гарруэй, главный медицинский директор и руководитель глобального подразделения по разработке лекарственных препаратов «Рош». — SUNFISH — одно из самых крупных плацебо-контролируемых исследований по СМА 2-го и 3-го типов. Мы благодарны пациентскому сообществу за сотрудничество и планируем представить полученные результаты в органы здравоохранения, чтобы люди со СМА смогли получить необходимое лечение как можно скорее».

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

Ридиплам 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.

Об исследовании SUNFISH

SUNFISH — двойное слепое плацебо-контролируемое исследование, состоящее из двух частей с участием пациентов в возрасте 2–25 лет со СМА 2-го и 3-го типа. В ходе первой части исследования (n=51) определена доза для второй (подтверждающей) части. Во второй части (n=180) оценивалась моторная функция с использованием шкалы MFM-32 (Motor Function Measure 32) через 12 месяцев лечения. MFM-32 — это валидированная шкала, используемая для оценки мелкой и крупной моторики у людей с неврологическими расстройствами, включая такую патологию, как спинальная мышечная атрофия.

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].

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.

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