

3. Oktober 2018

Liebe SMA-Community, wir freuen uns, Ihnen ein Update über unsere FIREFISH- und SUNFISH-Studien zu Risdiplam zu geben. Wir möchten auch die enorme Unterstützung und Partnerschaft der SMA-Patientengruppen auf der ganzen Welt würdigen und uns bei den Menschen mit SMA bedanken, die an diesen Studien teilnehmen, um die Forschung an SMA voranzutreiben.

Risdiplam ist ein investigativer SMN2-Spleißmodifikator, der oral (oder durch Nahrungssonde) gegeben wird und sich weit im Körper verteilt. Risdiplam wurde entwickelt, um dem SMN2-Gen zu helfen, mehr SMN-Protein zu produzieren. Wir entwickeln Risdiplam in Zusammenarbeit mit PTC Therapeutics und der SMA Foundation.

Auf dem 23. Internationalen Jahreskongress der World Muscle Society in Mendoza, Argentinien, haben wir ein Update des Risdiplam-Programms vorgestellt, das vorläufige klinische Daten aus Teil 1 der FIREFISH- und SUNFISH-Studien enthält. Weitere Informationen zu den Daten finden Sie hier: www.roche.com/media/releases.

Firefish

Neuigkeiten:

Aktualisierte Ergebnisse aus ca. 6 Monaten Behandlung mit Risdiplam in FIREFISH Part 1 wurden auf dem World Muscle Society Congress vorgestellt. Mehr hierzu können Sie im obigen Link lesen.

Die Registrierung für FIREFISH Part 2 ist im Gange und nahezu abgeschlossen.

FIREFISH Hintergrund:

FIREFISH ist eine zweiteilige Studie mit Säuglingen im Alter zwischen 1 und 7 Monaten mit Typ 1 SMA. Es handelt sich um eine offene Studie, was bedeutet, dass alle Babys Risdiplam erhalten und es kein Placebo gibt. Das Ziel von Teil 1 war es, die Sicherheit zu beurteilen und die Dosis von Risdiplam für Teil 2 der Studie zu bestimmen. Teil 1 wurde abgeschlossen und umfasste 21 Patienten. Die Teilnehmer von Teil 1 erhalten weiterhin Risdiplam und sind nun in der Open-Label-Verlängerungsphase der Studie eingeschrieben.

Teil 2 wird die Sicherheit und Wirksamkeit von Risdiplam bei etwa 40 Babys bewerten. Die Hauptanalyse basiert darauf, wie viele Babys nach einem Jahr Behandlung ohne Hilfe sitzen können.

Sunfish

Neuigkeiten:

Aktualisierte Ergebnisse aus 12 Monaten Behandlung mit SUNFISH Teil 1 wurden auf dem Kongress der World Muscle Society vorgestellt. Sie können mehr darüber im obigen Link lesen. Wir freuen uns auch, Ihnen mitteilen zu können, dass die Registrierung für SUNFISH Teil 2 nun abgeschlossen ist und 180 Teilnehmer umfasst.

SUNFISH Hintergrund

SUNFISH ist eine zweiteilige Studie zur Bewertung von Risdiplam bei Menschen mit Typ 2 und 3 SMA im Alter zwischen 2 und 25 Jahren. Die Studie ist placebokontrolliert, wobei zwei von drei Teilnehmern Risdiplam und einer Placebo erhalten. Das Ziel von Teil 1 war es, das Sicherheitsprofil und die Konzentration von Risdiplam bei verschiedenen Dosierungen sowie den Gehalt an SMN-Protein im Blut zu bewerten. Teil 1 wurde abgeschlossen und 51 Teilnehmer wurden angemeldet. Die Teilnehmer von Teil 1 von SUNFISH erhalten weiterhin Risdiplam und sind nun in der Open-Label-Verlängerungsphase der Studie eingeschrieben. Teil 2 ist der zentrale Teil der Studie und wird die Wirksamkeit und Sicherheit von Risdiplam nach 12 Monaten Behandlung beurteilen.

Mehr über die Risdiplam-Studien (einschließlich FIREFISH, SUNFISH und JEWELFISH) erfahren Sie unter www.clinicaltrials.gov, www.clinicaltrials.register.eu und www.roche-sma-clinicaltrials.com. Wir werden im Laufe des Programms über die neuesten Entwicklungen bei Risdiplam berichten, einschließlich weiterer Details zu RAINBOWFISH, unserer geplanten Studie über präsymptomatische Säuglinge. Vielen Dank an diejenigen von Ihnen, die an klinischen Studien für SMA teilnehmen und bitte kontaktieren Sie mich unter Sangeeta.jethwa@roche.com, wenn Sie weitere Informationen wünschen.

Mit freundlichen Grüßen

Sangeeta Jethwa, MD, im Namen des Roche SMA Team Head, Patient Partnership, Rare Diseases
Roche Pharma Research & Early Development / Roche Innovation Centre Basel, Schweiz

Übersetzt mit www.DeepL.com/Translator