

Sehr geehrte SMA-Community,

AveXis, jetzt ein Unternehmen von Novartis, untersucht eine Genersatztherapie zur Behandlung von SMA mit dem Ziel, die zugrundeliegende Ursache durch funktionellen Ersatz des verlorenen oder defekten SMN1-Gens zu beheben. Dies ist eine Antwort auf Ihre Anfrage nach einem Update zu unserem laufenden klinischen Entwicklungsprogramm.

AveXis hat kürzlich eine Phase-3-Studie in Europa mit dem Namen STR1VE-EU gestartet, die die Sicherheit und Wirksamkeit einer einmaligen intravenösen Infusion von AVXS-101 bei etwa 30 Patienten mit SMA Typ 1 untersuchen wird. Dies ist eine multinationale Studie, die 16 Zentren in acht Ländern umfasst: Italien, Großbritannien, Frankreich, Spanien, Niederlande, Schweden, Belgien und Deutschland. Die an der Studie teilnehmenden Patienten müssen weniger als sechs Monate alt sein und eine oder zwei Kopien des SMN-Backup-Gens, des so genannten SMN2-Gens, aufweisen. Zentren in Großbritannien und Italien nehmen bereits Patienten auf. Weitere Informationen über die Studie und die Zulassungskriterien finden Sie unter www.studysmanow.com. Wir gehen davon aus, dass wir auf einem kommenden Ärztekongress erste Daten von STR1VE-EU berichten werden können.

In der folgenden Tabelle finden Sie Informationen über das gesamte klinische Entwicklungsprogramm.

Weitere Informationen zu unseren Studien finden Sie in den Ausführungen auf ClinicalTrials.gov. Wenn Sie Fragen zum klinischen Entwicklungsprogramm haben, kontaktieren Sie uns bitte unter medinfo@avexis.com.

Mit freundlichen Grüßen,

Das AveXis Team

Anmerkung der Redaktion DG SMA:

Die englische Originalversion enthält auf S.2 noch einen tabellarischen Überblick zum Stand aller Studien von Avexis mit AVXS-101. Bitte rufen Sie daher auch das englische Original auf.