



Grenzach-Wyhlen, 20. Oktober 2021

Aktualisierung des globalen Entwicklungsprogramms von Roche zur Behandlung von SMA: Start einer neuen globalen klinischen Kombinationsstudie Anfang 2022

Liebe SMA Community in Deutschland,

im Rahmen unserer laufenden Zusammenarbeit und Ihrem Wunsch folgend, aktuelle Informationen zum klinischen Entwicklungsprogramm für Risdiplam▼ zu erhalten, möchten wir Sie über einen wichtigen Meilenstein informieren. Es freut uns, Ihnen mitteilen zu können, dass die Studie MANATEE eingeleitet wurde. Es handelt sich um eine neue globale klinische Studie zur Beurteilung der Sicherheit und Wirksamkeit von GYM329 (RO7204239), einem Myostatin-Antikörper, der das Muskelwachstum beeinflusst, in Kombination mit Risdiplam, in der Spinalen Muskelatrophie (SMA).

Warum eine Kombinationsstudie?

Diese Studie stützt sich auf zehn Jahre Austausch und Zusammenarbeit mit der globalen SMA-Community, die seit einigen Jahren großes Interesse am Potenzial der nächsten Generation der Forschung und Entwicklung zu SMA zeigt: der Kombinationsbehandlung. Indem wir mit unsere bestehenden Partnerschaften mit der Community weiterentwickeln, diese Therapiekombinationen prüfen und unsere Behandlungsansätze mit Neugier weiter verfolgen, tragen wir weiterhin dazu bei, im Leben der von SMA betroffenen Menschen und ihrer Familien etwas zu bewirken.

Derzeit verfügbare SMA-Therapien zielen darauf ab, die Menge des SMN-Proteins im Körper zu erhöhen. Ein niedriger Spiegel des SMN-Proteins im Körper ist die Ursache für die Entstehung von SMA. Die Kombination aus einer auf SMN einwirkenden Therapie und einer zweiten Therapie, die sich an die skelettalen Muskeln richtet, kann zu einem komplementären oder zusätzlichen Nutzen führen, da gleichzeitig Ursache und Symptome der Erkrankung beeinflusst werden¹.

Über das Molekül

GYM329 (RO7204239) ist ein in der Prüfung befindlicher Myostatin-Antikörper, der auf die Skelettmuskeln einwirkt und möglicherweise deren Größe und Wachstum steigert². Myostatin spielt eine wichtige Rolle bei der Regulation der Größe von Skelettmuskeln, indem es unkontrolliertes Wachstum stoppt. Die Hemmung von Myostatin kann zum Größenwachstum und zur Kräftigung von Muskeln beitragen. GYM329 (RO7204239) hat in Kombination mit Risdiplam das Potenzial, die Motorik weiter zu verbessern und in der Entwicklung neue Meilensteine für Menschen mit SMA zu erschließen².

¹ Cure SMA. Scientific Considerations For Drug Combinations. Verfügbar unter:
<https://curesma.wpengine.com/wp-content/uploads/2020/03/03042020_Scientific-Considerations-for-Drug-Combinations_Final_Updated.pdf>

² Muramatsu, H et al 2021. Scientific Reports, 11(1).

Roche Pharma AG

Emil-Barell-Straße 1
D-79639 Grenzach-Wyhlen
Tel. +49 (0)7624 14-0
Fax +49 (0)7624 1019

Sitz der Gesellschaft:
Grenzach-Wyhlen
Registergericht:
Freiburg HRB 410096

Aufsichtsratsvorsitzender:
Dr. Thomas Schinecker
Vorstand:
Prof. Dr. Hagen Pfundner

Überblick über die Studie MANATEE

MANATEE ist eine globale Phase-II/III-Studie zur Beurteilung von GYM329 (RO7204239) in Kombination mit Risdiplam bei (eigenständig) gehfähigen Kindern mit SMA im Alter von 2–10 Jahren. Für die Studie geeignet sind Patienten, die zuvor entweder mit Risdiplam, Onasemnogen-Abeparvovec oder Nusinersen behandelt wurden, sowie Patienten, die bisher noch keine Behandlung erhalten haben. Es existieren weitere Ein- und Ausschlusskriterien.

Die Studie besteht aus zwei Teilen:

- In Teil 1 wird zunächst die Sicherheit von zwei Dosen GYM329 (RO7204239) bewertet. Ziel ist es, die optimale Dosis für Teil 2 der Studie auszuwählen. Hierfür werden voraussichtlich ca. 36 Teilnehmer aufgenommen.
- Teil 2 ist der Hauptteil der Studie. In diesem werden die Wirksamkeit und Sicherheit von GYM329 (RO7204239) in Kombination mit Risdiplam unter Anwendung der in Teil 1 ausgewählten Dosis beurteilt. Hierfür werden voraussichtlich ca. 144 Teilnehmer aufgenommen.

Die Teilnehmer werden nach dem Zufallsprinzip einer Behandlungsgruppe, die Risdiplam und GYM329 (RO7204239) erhält, oder einer Behandlungsgruppe, die Risdiplam und ein Placebo erhält, zugewiesen. Bis zum Ende der Studie wissen weder die Studienteilnehmer noch die Prüfarzte der Studie, welche Behandlung die Teilnehmer erhalten. Alle Studienteilnehmer, auch die Patienten in der Placebo-Gruppe, erhalten während der gesamten Studie eine tägliche Dosis Risdiplam in der zugelassenen Dosis.

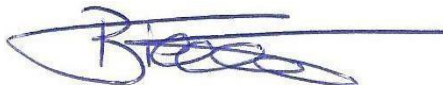
Für die Teilnahme an Teil 1 der Studie sind etwa 15 Zentren geplant, unter anderem in den Ländern Belgien, Deutschland, Großbritannien, Italien, Polen, den Niederlanden, UK und den USA. Die Aufnahme in Teil 1 beginnt voraussichtlich im Februar 2022, die Aufnahme in Teil 2 Ende 2023. Jede Familie, die Interesse hat, an der Studie teilzunehmen, sollte die Entscheidung mit dem behandelnden Arzt abstimmen. Weitere Informationen zur Studie MANATEE und eine komplette Liste aller Ein- und Ausschlusskriterien werden in den kommenden Wochen auf ClinicalTrials.gov und forpatients.roche.com verfügbar sein.

Wir möchten an dieser Stelle den Patientenorganisationen, SMA Europe, unseren Prüfarzten und den Mitarbeitern der Studienzentren, die uns beim Design und der Vorbereitung der Studie geholfen haben, unseren herzlichen Dank aussprechen.

Wir freuen uns, Sie in naher Zukunft über aktuelle Neuigkeiten zu informieren und danken Ihnen für die stets gute Zusammenarbeit.

Mit freundlichen Grüßen

Roche Pharma AG
i.V.



Dr. Belinda von Niederhäusern im Namen des SMA-Teams Roche Pharma AG Deutschland
Senior Patient Partnership Manager Rare Diseases (SMA)

▼ Dieses Arzneimittel unterliegt einer zusätzlichen Überwachung. Dies ermöglicht eine schnelle Identifizierung neuer Erkenntnisse über die Sicherheit. Angehörige von Gesundheitsberufen sind aufgefordert, jeden Verdachtsfall einer Nebenwirkung zu melden. Bitte melden Sie Nebenwirkungen an die Roche Pharma AG unter grenzach.drug_safety@roche.com oder Fax +49 7624/14-3183 oder an das Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte unter www.bfarm.de oder Fax: +49 228/207-5207.