



20 marca 2017

Drodzy Członkowie Społeczności SMA,

Zespół Roche wychodzi naprzeciw oczekiwaniom chorych na SMA. Z radością dzielimy się z Państwem aktualizacją, dotyczącą dwóch doustnych substancji rozpatrywanych jako perspektywiczne leki na rdzeniowy zanik mięśni – olesoxime oraz RG7916 oraz aktualnie trwających prób klinicznych RG7916 – SUNFISH (typ 2/3), FIREFISH (typ 1) oraz JEWELFISH (typ 2/3).

Olesoxime

- Olesoxime to molekula przyjmowana doustnie, która poprzez wpływ na mitochondria komórek wspiera ich żywotność i funkcjonalność.
- Europejska Agencja ds. Leków (EMA) oraz FDA (instytucja będąca odpowiednikiem EMA w Stanach Zjednoczonych – *przyp. Fundacja SMA*) zleciły przeprowadzenie kolejnego badania, mającego na celu analizę potencjalnych korzyści i ryzyk związanych z przyjmowaniem olesoxime.
- Kolejne badanie olesoxime, zgodnie z rekomendacją EMA i FDA, jest rozpatrywane przez nasz zespół i w najbliższych miesiącach wystosujemy w tej sprawie odpowiedni komunikat.

RG7916

- RG7916 to przyjmowany doustnie tzw. modyfikator splicingu (*ang. splicing modifier*).
- Badania kliniczne prowadzone są we współpracy z PTC Therapeutics oraz organizacją SMA Foundation.
- FDA nadała tej substancji status potencjalnego leku sierociego

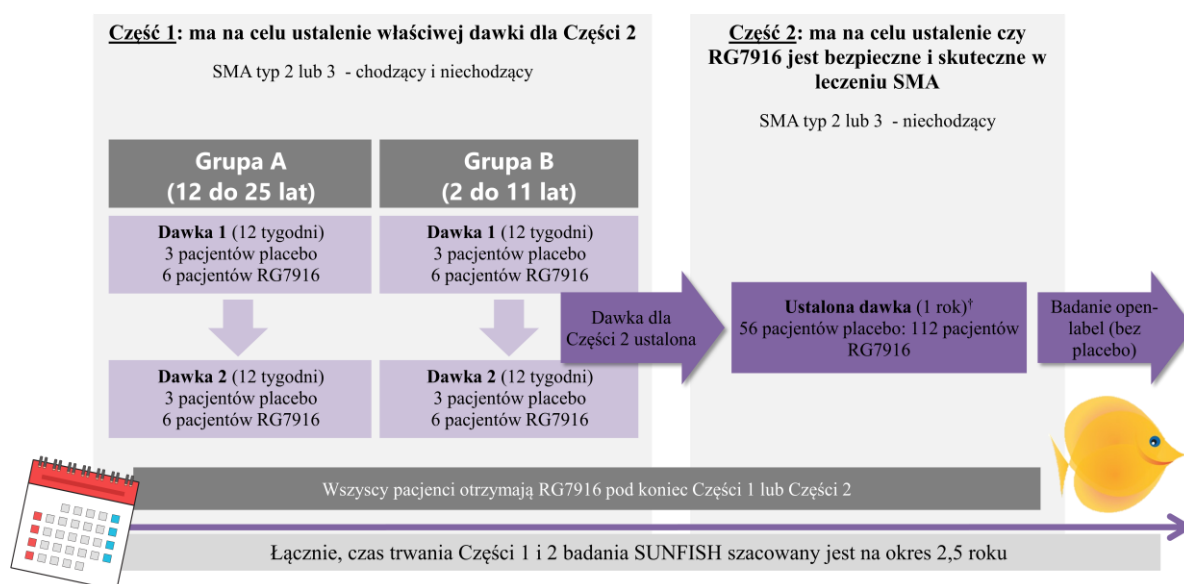
Jakie badania kliniczne RG7916 prowadzą obecnie rekrutację?

Obecnie trwa rekrutacja do trzech badań klinicznych RG7916: SUNFISH, FIREFISH oraz JEWELFISH

SUNFISH:

- **Cel:** Zbadanie bezpieczeństwa i skuteczności RG7916 u chorych z SMA typu 2 i 3
 - Część 1 badania ustali bezpieczeństwo RG7916 przy różnych jego dawkach
 - Część 2 badania ustali skuteczność i bezpieczeństwo leku przy dawce zdefiniowanej po zakończeniu Części 1
- **Kto może uczestniczyć:** Dzieci i młodzi dorośli z SMA typu 2 i 3 w wieku 2-25 lat¹
- **Szczegółowy plan badania:**

¹ Pełne kryteria włączające muszą zostać spełnione – lista dostępna na oficjalnej stronie badania ([link](#))



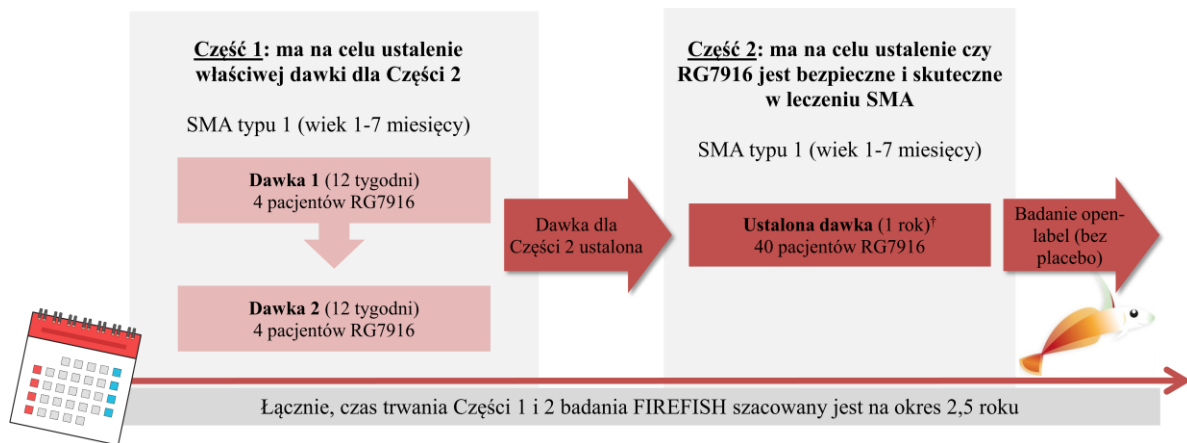
- **Aktualny status:** Zakończono rekrutację do Części 1 dla grupy przyjmującej Dawkę 1 (niska dawka) – 10 nastolatków i dorosłych (Grupa A) i 9 dzieci (Grupa B)². Aktualnie trwa rekrutacja do Części 1 badania dla grupy przyjmującej Dawkę 2 (wysoka dawka)
- **Bezpieczeństwo terapii:** Bezpieczeństwo uczestników badania jest dla nas głównym priorytetem. Tak jak zaplanowano w protokole badania, specjalny Komitet Oceny Bezpieczeństwa zbiera informacje od wszystkich uczestników badania SUNFISH. Po weryfikacji danych pochodzących od pacjentów z Grupy B (Dawka 1) w Części 1, Komitet zatwierdził kontynuację badania zgodnie z oryginalnym planem.
- **Dalsze plany:** Rozpoczęcie Części 2 badania planowane jest na drugą połowę 2017 roku. Badanie rozszerzone zostanie na nowe kraje i ośrodki badawcze.

FIREFISH:

- **Cel:** Zbadanie bezpieczeństwa i skuteczności RG7916 u niemowląt z SMA typu 1 w wieku 1-7 miesięcy
 - Część 1 badania ustali bezpieczeństwo RG7916 przy różnych jego dawkach
 - Część 2 badania ustali skuteczność i bezpieczeństwo leku przy dawce zdefiniowanej po zakończeniu Części 1
- **Kto może uczestniczyć:** Niemowlęta z SMA typu 1 w wieku 1-7 miesięcy³
- **Szczegółowy plan badania:**

² Niewykuczony jest dalszy nabór pacjentów do Grupy B, przyjmującej niską dawkę w Części 1 badania
[†] Ostateczny kształt badania nadal oczekuje na zatwierdzenie ze strony odpowiedzialnych organów regulacyjnych.

³ Pełne kryteria włączające muszą zostać spełnione – lista dostępna na oficjalnej stronie badania ([link](#)).



- **Aktualny status:** Pierwsze niemowlę otrzymało RG7916 w grudniu 2016. Aktualnie badanie trwa w Europie – rozszerzenie Części 1 FIREFISH na Stany Zjednoczone oraz dalsze ośrodki europejskie przewidywane jest w najbliższych miesiącach.
- **Bezpieczeństwo terapii:** Bezpieczeństwo uczestników badania jest dla nas głównym priorytetem. Tak jak zaplanowano w protokole badania, specjalny Komitet Oceny Bezpieczeństwa zbiera informacje od wszystkich uczestników badania FIREFISH.
- **Dalsze plany:** Rozpoczęcie Części 2 badania planowane jest na drugą połowę 2017 roku. Badanie rozszerzone zostanie na nowe kraje i ośrodki badawcze.

JEWELFISH

- **Cel:** Zbadanie bezpieczeństwa i skuteczności RG7916
- **Kto może uczestniczyć?** Pacjenci, którzy poprzednio uczestniczyli w innym badaniu substancji wpływającej na ekspresję genu SMN2 (badanie kliniczne MOONFISH specyfiku RG7800 lub innych substancji, których celem terapeutycznym był gen SMN2)⁴.
- **Szczegółowy plan badania:**



- **Aktualny status:** Pierwszy pacjent otrzymał lek w jednym z ośrodków w USA
- **Bezpieczeństwo terapii:** Bezpieczeństwo uczestników badania jest dla nas głównym priorytetem. Tak jak zaplanowano w protokole badania, specjalny Komitet Oceny Bezpieczeństwa zbiera informacje od wszystkich uczestników badania JEWELFISH.
- **Dalsze plany:** Planowane jest rozszerzenie badania w dalszych ośrodkach w Europie i w USA

⁴ Pełne kryteria włączające muszą zostać spełnione – lista dostępna na oficjalnej stronie badania ([link](#))

Jak można dowiedzieć się o możliwości uczestnictwa w badaniach SUNFISH, FIREFISH i JEWELFISH?

Prosimy o kontakt ze swoim lekarzem prowadzącym, jeżeli uważają Państwo, że spełniają Państwo kryteria związane z danym badaniem.

Polecamy również odwiedzić witrynę www. Roche-sma-clinicaltrials.com aby poznać więcej szczegółów dotyczących opisanych badań klinicznych.

Organizacja pacjencka z Państwa kraju może również udzielić bardziej szczegółowych informacji. Listę organizacji pacjenckich na całym świecie znajdą Państwo pod adresem <http://www.smafoundation.org/about-sma/sma-organizations-worldwide>.

Jak uzyskać więcej informacji?

Więcej informacji na temat badań klinicznych SUNFISH, FIREFISH oraz JEWELFISH znajdą Państwo na stronach www.clinicaltrials.gov oraz <https://www.clinicaltrialsregister.eu/>

O dalszych postępach w badaniach nad lekiem na SMA będziemy informować Państwa w kolejnych komunikatach.

W razie jakichkolwiek pytań proszę o kontakt: sangeeta.jethwa@roche.com

Z poważaniem,

Dr n. med. Sangeeta Jethwa

Dyrektor ds. Współpracy z Pacjentami, Choroby Rzadkie

Centrum Innowacji Roche w Bazylei (Szwajcaria)