

Liebe SMA-Gemeinde,

wir möchten Ihnen gerne die neuesten Informationen über Entwicklungen bei der klinischen Untersuchung von RG7800, einem SMN2-Splicing-Modifizierer (d.h. eine Substanz, die die Fehlfunktion des SMN2-Gens aufhebt, Anm. d. Übersetzerin) zukommen lassen. Die Substanz wird als potentes Medikament zurzeit in einer klinischen Studie bei spinaler Muskelatrophie untersucht. Die Substanz ist das Ergebnis einer Zusammenarbeit zwischen Roche, PTC und der SMA Foundation.

Im November 2014 hat Roche mit der Moonfish-Studie begonnen (Phase 1b/2a). Vorausgegangen waren eine Studie an gesunden Freiwilligen und Toxizitätsstudien an Versuchstieren über 13 Wochen, die positive Ergebnisse erbrachten. Das vorrangige Ziel der laufenden Studie ist es, die Sicherheit und Verträglichkeit von RG7800 zu prüfen. Gleichzeitig werden Messungen der Konzentration der Substanz im Körper zu verschiedenen Zeitpunkten (Pharmakokinetik) durchgeführt und der Effekt auf das Splicing der SMN2-mRNA und der SMN Proteinproduktion untersucht.

Parallel zu der Moonfish-Studie haben wir die Langzeitwirkung von RG7800 an Tieren untersucht. Diese Tierstudien werden standardmäßig bei der Entwicklung neuer Medikamente verlangt. In dieser Studie der Langzeitwirkung haben wir einen unerwarteten Befund am Auge der Tiere feststellen müssen. Die Sicherheit der Patienten ist unser oberstes Anliegen, deshalb haben wir als Vorsichtsmaßnahme sofort die weitere Einnahme des Studienmedikaments gestoppt.

Wir möchten aber betonen, dass eine interne Überprüfung der Sicherheitsdaten von allen in der Moonfish-Studie befindlichen Patienten durchgeführt wurde und sich kein Hinweis auf ein Risiko ergeben hat. Der Augenbefund der Tiere bei RG7800 wurde bei Dosierungen festgestellt, die höher sind als die Dosierungen, die bei den Patienten verwendet wurden.

Alle Studienteilnehmer wurden über den Befund informiert und alle werden weiter untersucht, so wie es im Studienprotokoll vorgesehen ist. Zum Zeitpunkt der Unterbrechung der Studie hatte die erste Kohorte von Patienten die Studie vollständig abgeschlossen und drei Patienten hatten mit der Einnahme der als nächstes vorgesehenen Dosis begonnen. In der Studie hat sich bisher kein Hinweis auf irgendein Sicherheitsrisiko gezeigt. Wir möchten betonen, dass die Aussetzung der Studie eine Vorsichtsmaßnahme ist, da die Sicherheit der Patienten unser oberstes Gebot ist.

Wir möchten uns bei allen für die Unterstützung unseres SMA-Programms bedanken. Roche, PTC Therapeutics und die SMA Foundation sind und bleiben sehr engagiert in der Entwicklung von Medikamenten für SMA und wir werden zeitnah über die nächsten Schritte in der Moonfish-Studie informieren.

Mit den besten Grüßen

Für das RG7800 Team

Luca Santarelli, PhD, MD	Stuart Peltz, PhD	Loren Eng
Sr. VP, Head of Neuroscience, Ophthalmology and Rare Diseases	CEO PTC Therapeutics	President SMA Foundation

F. Hoffmann-La Roche Ltd

Deutsche Übersetzung: Dr. Inge Schwersenz